

## 事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109093h0003  
研究開発課題名 : タウリンによる MELAS 脳卒中様発作再発抑制療法の実用化  
研究代表機関名 : 学校法人川崎学園川崎医科大学  
研究開発代表者名 : 砂田芳秀

評価委員会のコメント :

### ○評価できる点、推進すべき点、研究事業にとって必要である理由

ミトコンドリア病を tRNA 修飾異常病としてとらえ、タウリンによる MELAS 脳卒中発作再発抑制という概念は新規性が高い。また、末梢血白血球 tRNA タウリン修飾率と言う新たなバイオマーカーを見つけたことも評価される。ドラッグリポジショニングという観点からもおもしろい。MELAS の脳卒中様発作、再発抑制療法としてタウリンの医師主導治験を実施し薬事承認も近いこと、また末梢血白血球ミトコンドリア tRNALeu(UUR) タウリン修飾率の薬効マーカーをタウリン療法の薬効評価ばかりでなく、老化バイオマーカーとなる新規性を追加して、国際特許出願している。所定の治験終了。有効性実証。NDA 準備中。タウリンによる MELAS 患者の卒中様発作防止は画期的成果である。

### ○疑問点、改善すべき点、その他助言等

タウリンによる MELAS 脳卒中発作再発抑制効果が報告された論文は impact factor が高くなく、必ずしもグローバルには十分に評価されているとは言えない。本症の複数の研究班の連携が必ずしも十分ではなく、症例の組み入れも遅れ気味である。

タウリン投与による脳卒中発生抑制効果が 60%にとどまる点。

①Publication の遅れ②企業の姿勢（本人の責任ではない）には問題があった。

以上