

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109106h0003
研究開発課題名 : RANKL 低分子阻害剤による疾患制御の展開に向けた検証研究
研究代表機関名 : 国立大学法人東京大学
研究開発代表者名 : 高柳広

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

RANKL/RANK 経路を介した治療薬の可能性について幅広く検討している。

導出企業が見出されたこと。

非臨床 POC の取得に関しては計画通り進捗したが、アステラスと涌永製薬の件では苦勞しているようである。

RANKL 低分子阻害剤の「がん骨転移」と「多発性硬化症」に対する日臨床 POC を確立させたこと「多発性硬化症」に対しては新たな作用機序の医薬品開発である。

多発性硬化症における新たな治療薬開発が期待できる点。抗体治療ではない、より安価な薬剤が開発される可能性がある点。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

まだ疾患関連研究として治療薬となる可能性を示す範囲にとどまっており、どのような治療法が可能なのか医療上の位置づけ（すなわち TPP）を明確にするまでには至っていない。またシーズを特定するのはまだまだ時間がかかる。

知財確保が可能かどうか多発性硬化症の診療を担当している臨床家が参画していない。

非臨床 POC に関しては、単に効果があるというだけでなく、denosumab と比較して優れているのか同等なのかを調べる必要があると思われる。

がんの領域では最近では決して分子標的薬が抗体薬よりも安いとは限らない状況になってきている。

Denosumab というすでに開発が終わっている薬剤がある以上、それを上回る効果か価格の上での大きな優位性がなければ、今後の開発は困難と思われ、その点をもう一度厳しく評価する必要があると思われる。

研究実施中に、当初の製薬企業が特許の放棄と製剤化を断念している。

RANKL 経路阻害剤の安全性に関する記載が少ない。薬剤の最適化事業の遅延が予測される。

以上