

## 事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109152h0003  
研究開発課題名 : デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する革新的筋萎縮阻害医薬の実用化  
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

DMD に関する有効性は期待できると思われる。  
ペプチドドリーム社との共同研究により、ペプチド最適化については十分な進捗がみられる。  
ターゲット因子が薬効に対して明確である。  
マイオスタチンの阻害による新規 DMD 薬の探索研究としては、ペプチドドリームとの共同研究を含めて、今後の進展が期待できる。  
筋ジストロフィーに対するマイオスタチン阻害を目的とした新規ペプチド医薬であり、新規性は高い。蝶番架橋ペプチドの最適化にも成功をしている。  
環状ペプチドの最適化に時間を要し、進捗が遅れは見られるが、今後の展開においては成果が期待できよう。  
全身投与可能なマイオスタチン阻害ペプチドの開発を進めることができた点。  
関心のある成果が得られている。  
遺伝子変異に限らない、幅広い筋疾患への適応が想定される作用機序のシーズ開発であるこれまでの知見についても、研究者らが中心になって明らかにしてきた体制である。  
筋ジストロフィーに対してペプチドでの治療は独自性がある。  
ユニークな架橋構造を持つ、日本オリジナルのペプチド医薬。

### ○疑問点、改善すべき点、その他助言等

ステップ 1 の達成目標を全く満たしていない。  
臨床試験入りに必要な非臨床試験については、進捗状況が不透明。モデルでの薬効試験は終了できるが、臨床試験、特に連投試験を開始するまでのスケジュールが見えない。2018 年 3 月までの非臨床試験完遂はハードルが高い。  
ステップ 1 でなくステップ 0 に相当する研究である。  
候補薬物が複数。  
ステップ 1 の課題としては適切ではない。  
蝶番架橋ペプチドと環状ペプチドとどちらが有用かが現時点では不明である。  
ステップ 1 の研究とは言えない。  
ステップ 2 に進めるほどの達成は得られなかった点。  
新しい化合物での非臨床 POC を確立してゆく必要があると思われる。  
ステップ 1 としては不十分である。  
シーズ選択、FIHに必要な非臨床試験実施及びプロトコール作成については、達成されていない。  
ステップ 1 の内容ではない。  
製剤の確保、非臨床安全性未達成。抗原性について不安あり。

以上