

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109153h0003
研究開発課題名 : 多発性硬化症に対する新規抗体治療薬の開発
研究代表機関名 : 国立大学法人大阪大学
研究開発代表者名 : 山下俊英

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

抗体の効果を動物モデルで確認している。

ほぼ計画のとおり実施した。

target が明確であり非臨床で効果が認められている。

進行型 MS について、前臨床 POC を示しており、有望な抗体と思われる。

特許も確実に押さえている。

ヒト型 RGM 抗体を開発、MS ならびに MNO の画期的な治療薬となる可能性がある。

ヒト RGM 抗体の作成と複数の MS モデルマウスの確立に成功し、さらにヒト RGM モノクローナル抗体の有効性を明らかにし、今後の臨床試験に繋げつつある。

当初の目標をクリアし、企業への導出も順調である。

Phase I 試験につながる抗 RGM 抗体の開発に成功しており、今後の開発プランも順調に進めることができるのではないかと期待できる。レジストリの構築も進んでいる点も強みであると考えます。

非臨床 POC が得られており、順調に進捗している。

ステップ 0 として、非臨床 POC の取得ができています。

製薬企業との共同開発であり、現時点での目標達成されている他疾患への臨床応用についても検討されている点。

当初より開発候補品が決まっており、知財も確保され、ステップ 1 並の開発が行われている。

ライセンス・アウト済み。企業治験に別疾患日・米で開始している。非臨床 POC 取得、製造確保。

治験へのロードマップが明確で、実現可能性が高いと思われる。

複数の疾患動物モデルで有効性を示すことができた。企業も付いており、知財権の割合も決まっている。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

薬事対応が必要。CMC は早めに企業に任せるべき（特に生産/スケールアップ）。

in vitro の系があるか判らなかつたので、もし、in vitro 系がないと、有効濃度の議論や potency assay（品質評価のひとつ）が実施できないのではないかと？

医師主導治験ではなく、オーファンとして企業治験にもっていった方が展開が早いのではないかと。安全性試験が十分でないのでは。

レジストリの登録が思わしくない。本当に治験に利用できるかどうかはかなり疑問がある。

進行性 MS モデルで、軸索変性が回復したのかどうかのデータは？機能回復したデータはあるが、他のメカニズムに関するデータが不十分だと思われる。進行性 MS モデルで人の治験を行う予定とのことで、このモデルで他の治療薬との比較試験を行ったほうがよいと思われる。

寛解持続期間について前臨床データがない。

レジストリが構築済みである点は評価できるが、登録人数がまだ少数にとどまっている。

他疾患で臨床応用する話との関係性はどうか。

以上