

## 事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109154h0003  
研究開発課題名 : 新規配列連結型核酸医薬品を用いたデュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するエクソン・スキップ治療の実用化に関する研究  
研究代表機関名 : 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター神経研究所  
研究開発代表者名 : 武田伸一

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

ステップ1での目標に加え、新たな評価指標等についても開発されている。  
日本新薬との連携があり、製品化への道筋が明確。エキソン5 1 スキップ薬開発の経験を生かしている。  
次のステップへの計画ができています。  
検討されている治療薬のターゲットが明確であり、薬効が期待される。  
DMD のエクソン44 のエクソンスキッピングによる治療法の開発が順調に進められている。  
対象をしぼり、着実に基礎研究を積み重ねている。  
デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する新規配列連結型モルフォリノ核酸を用いた治療法の開発であり、研究の進捗状況は満足すべき状況にある。また、連結型核酸の効果検証を可能にしている点も評価される。  
デイストロフィン検出法の開発。  
ステップ1を終了する見通しが立っている。  
計画されていた目標が多く達成できている点。  
ステップ1としての要求によくこたえる成果が得られた。あつ西方の開発、評価系の開発も将来を見据え意義がある。  
治験薬の非臨床開発に加え、新規のアウトカムメジャーも開発している。  
PMDA と相談して進めており、年度内に GLP 試験を終了できる。

### ○疑問点、改善すべき点、その他助言等

臨床試験について、きちんと症例が集積できるかどうかについて検討していただきたい。  
臨床効果指標の開発がまだ途上で、この段階で臨床試験を実施しても明確な結論を出せる試験を実施できるか不明。  
DMD に対するエクソンスキッピングは、エクソン53 についてヒトで有用性が示されている中で、部位は異なるとはいえ、同じ治療コンセプトで同様の核酸を用いた治療法の開発をAMEDの支援で実施していくのか。モルフォリノ核酸を選択しているが、最近の他の修飾核酸に比べての優位性はあるのか？  
評価方法から確立を計画されているため、治験へ移る前にまだ検討すべき点が多い点。  
製剤の確保について2、3での記載に矛盾がある。

以上