

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109190h0002
研究開発課題名 : 強力な筋分化誘導能を有するマイクロ RNA を用いた新規筋疾患治療アプローチの
開発と確立
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
研究開発代表者名 : 北條浩彦

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

mdx マウスでは mir-X の効果を確認できた。
mir-X の構造最適化を行い、疾患モデル動物での機能改善効果が得られたことは評価できる。
疾患モデルマウスにおいて、効果を見いだしている。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

最適化によって向上した効果について定量的な記載がなく、評価出来ない。北條先生の実験は miR-X
を局所および静脈内投与、関口先生の実験は miRNA-199 を静脈内投与となっており、同じ miRNA かど
うかがわからないため評価出来ない。やはり DDS が必要。
やはり DDS が必要である。
ヒト疾患由来の筋細胞に対する効果が検証されていない。
患者細胞での検討ができておらず、ヒトでの効果が不明である。事後評価報告書では、構造最適化や
デリバリーの検討の具体的内容がわからない。
若齢マウスモデルや健常人細胞における効果は年度内の終了は難しいと思われる。

以上