

## 事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109192h0002  
研究開発課題名 : ナノカプセルを用いた拡張型心筋症に対するミトコンドリアをターゲットとした新規治療法の開発  
研究代表機関名 : 国立大学法人北海道大学  
研究開発代表者名 : 絹川真太郎

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

MITO-Porter という長年研究している技術の拡張型心筋症への応用であり、ミトコンドリアでの遺伝子発現を選択的に調節できるなら魅力がある。  
基礎的検討を十分進めていることは評価される。特許申請も行っている。  
拡張型心筋症に対して、ミトコンドリア機能障害をターゲットとした治療法の開発を目指していること。ナノカプセルを使用する薬物送達法を検討している。  
心筋ミトコンドリアを標的とした治療には独自性がある。

### ○疑問点、改善すべき点、その他助言等

細胞内動態の確認はコンセプトを支持するためには重要であるが、機能的な選択性（ミトコンドリア DNA 対核 DNA）の証明と、傷害心筋モデルでの効果検討を早く実施すべきである。  
進捗が遅れている。基礎実験が終了するまで動物実験を進めない不明である。  
研究の進捗に重大な遅れが認められる。ヒトへの投与方法も具体的でなく、目的とする臓器への集積性も明らかでないなど、未解明の課題が多い。  
in vitro では心筋細胞にナノカプセルが取り込まれるが、in vivo で本当に心筋細胞に送達可能なのか、またミトコンドリア内でのどの遺伝子発現により治療効果が得られるのか明らかではない。

以上