

**創薬基盤推進研究事業 研究開発課題
事後評価報告書**

研究開発課題名	フェニル酪酸ナトリウムの利胆作用に関する臨床エビデンスに立脚した難治性肝内胆汁うっ滞の新規創薬ターゲットの創出
代表機関名	国立大学法人東京大学
研究開発代表者名	林 久允
全研究開発期間	平成 29 年度～令和元年度

1. 研究開発成果

事後報告書（下 URL）参照

<https://www.amed.go.jp/content/000065850.pdf>

2. 総合評価

・ 優れている。

【評価コメント】

本課題では、フェニル酪酸ナトリウムの利胆作用の分子基盤解明を着実に進め、新たな創薬ターゲットの同定に成功したことは、難治性肝内胆汁うっ滞の新規創薬に繋がる成果であり評価できる。さらに、肝細胞由来培養株を用いた検証実験により、胆汁酸排出トランスポーターBSEPを増強する4遺伝子を見出し、企業と連携した創薬研究の目処を立てていることは評価できる。

今後、BSEPのユビチン化のデータ集積や上記4遺伝子に関する遺伝子改変マウスの詳細な病態解析により、ターゲット分子のBSEPに対する特異性を検証するとともに、新規利胆薬の創出に向け、臨床上の有用性や安全性も配慮しながら、ヒット化合物からリード化合物の創出を企業と連携して行って頂きたい。

以上