

## 医療研究開発革新基盤創成事業 (CiGLE) 中間評価結果

### 1. 中間評価を実施した課題

課題名	新規の核酸合成とデリバリー技術を用いた核酸創薬研究
代表機関	株式会社カン研究所
公募タイプ	研究開発タイプ

### 2. 本課題の概要

核酸医薬品には、アンチセンス、アプタマー、siRNA、miRNA、デコイ、CpG オリゴ等があり、このうち世界ではこれまでに、アンチセンス 8 品、アプタマー 1 品、CpG オリゴ 1 品と siRNA 2 品が承認されている。核酸医薬品の創薬には、「毒性を回避した核酸をデザインし合成する技術」と「核酸を標的細胞に効率的にデリバリーする技術」の両者の開発が必須である。

本課題は、大阪大学と医薬基盤・健康・栄養研究所の毒性回避のための核酸合成・スクリーニング技術、株式会社ジーンデザインの核酸製造技術とエーザイ株式会社を中心に開発した核酸デリバリー技術を組み合わせることにより、独自の核酸医薬創出プラットフォームを構築するものである。さらには、東京女子医科大学、国立がん研究センター東病院及び新潟大学と協働することで、構築したプラットフォームを用いた安全性と有効性に優れた難治性がんなどに対する核酸医薬品候補の創出を最終目標とする。

### 3. 本中間評価の目標

- (1) 進捗状況や成果を把握する。
- (2) 本中間評価にあわせて設定されたマイルストーンが 2020 年 6 月迄にクリアできているかを確認する。
- (3) 今後の見込みを検討する。

### 4. 成果

研究開発実施計画書で設定されたマイルストーンの達成目標をクリアする結果を確認した。

### 5. 評価結果

本課題は計画どおりに、核酸医薬創出プラットフォーム構築に向けて、達成目標として設定したマイルストーンを順調に達成したと評価した。

今後の課題としては、次のマイルストーンを達成するための核酸合成技術とデリバリー技術の最適化や開発戦略の見直し等を検討すべきであると評価した。

以上をもって、本課題の継続を可とした。

以上