

1. 中間評価を実施した課題

課題名	アンチセンス核酸を用いた脊髄損傷治療薬の開発
代表機関	ルクサナバイオテク株式会社
公募型	スタートアップ型
公募タイプ	研究開発タイプ

2. 本課題の概要

脊髄損傷は、交通事故等の強い衝撃を受けることにより生じ、四肢の運動機能障害、感覚麻痺、膀胱、直腸の機能障害等を引き起こすことにより QOL を著しく低下させる。本邦において、毎年新たに約 5000 人の脊髄損傷患者が発生し、延べ 10 万人以上の慢性脊髄損傷患者が存在する。脊髄損傷治療においては、iPS 細胞や神経幹細胞移植等による再生医療が注目されているが、治療コストや安定供給に関するハードルが高い。また、脊髄損傷後の神経軸索再生の最大の阻害要因はコンドロイチン硫酸を実体とするグリア性瘢痕であるといわれており、これを制御することが神経軸索再生にとって重要である。そこで代表機関は、コンドロイチン硫酸の糖転移酵素に着目し、これを標的とするアンチセンス核酸（ASO）を開発した。ASO により瘢痕形成阻害及び脊髄損傷モデル動物での脊髄損傷後の生理機能回復を確認できたことから、化学合成可能な薬剤を用いた脊髄損傷治療薬の開発を目指している。

したがって、本課題において、非臨床試験で安全性が確認された脊髄損傷治療薬候補物質である ASO を取得することを目的とし、動物モデルを用いた有効性の検証、非臨床安全性試験、非臨床試験用原薬製造等を実施する。

3. 本中間評価の評価項目

(1) 研究開発等の進捗状況

研究開発実施計画に対する進捗状況及びあらかじめ定めた以下のマイルストーンの達成状況を確認する。

- ・細胞を用いた安全性試験により安全性が確認された ASO をマウスモデルに投与し、有効性を確認する。

(2) 今後の見込み

4. 本中間評価において確認した成果

- ・非臨床試験を実施し、化合物（ASO）の最適化を行い、安全性が確認された候補化合物を決定したこと。
- ・候補化合物に細胞レベルで瘢痕形成阻害活性を認め、マウスモデルにおいて、運動機能回復（有効性）を認めたこと。

5. 評価結果

安全性の確認された候補化合物の決定、マウスモデルでの有効性の確認が計画どおり進捗している。オフターゲット効果が少ない候補化合物を選定しており、開発当初のコンセプトに沿った有効性を示している点を評価する。

以上をもって、本課題の継続を可と評価した。

以上