

研究開発課題事後評価結果

事業名（年度）	次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業 （平成30年度～令和2年度）
研究開発課題名	革新的中分子創薬技術の開発／先端的な中分子創薬関連技術の開発
分担研究開発課題名	膜透過性予測に資するオリゴ核酸の細胞内取り込み機構の分子基盤 解明
代表機関名	国立医薬品食品衛生研究所
研究開発代表者名	井上 貴雄

【評価結果】

優れている／計画した成果をやや上回る成果が得られた

【評価コメント】

オリゴ核酸のPD/PKに注目したユニークな研究で、オリゴ核酸の細胞内取り込みに関与すると考えられる遺伝子群の特定に成功するなど、核酸医薬品の開発に向けた基盤技術を着実に発展させた成果と評価される。また、確立した細胞内に取り込まれたオリゴ核酸の定量法は、核酸中分子の細胞内取り込み機構の解明に有効であり、核酸医薬品開発の基盤技術として期待される。核酸医薬品は創薬標的として極めて重要であり、研究開発課題で得られた成果、情報が整理されれば、医療の進展に貢献するものと思われる。さらに、「原料供給・製造/分析・品質担保の観点から核酸医薬品を実用化する上での問題点の洗い出し」でも公開シンポジウムやアンケート調査によって的確な分析が行われている。

一方、RNAiスクリーニングにより得られた「オリゴ核酸の細胞内取り込みに関与する遺伝子群」の解析について、複数の遺伝子破壊株及び過剰発現株を取得したが、候補遺伝子の機能解明に繋がった例は限定的であり、また、膜透過モデルの確立には至らなかった。本研究により有効な評価系が確立されたので今後の研究に期待したい。あわせて、本研究の原著論文の発表も期待する。

以上