

## 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	糖鎖利用による革新的創薬技術開発事業
分担研究開発課題名	ラミン結合性機能糖鎖を応用した筋ジストロフィー治療薬の開発
代表機関名	地方独立行政法人東京都健康長寿医療センター
研究開発代表者名	萬谷 博

### 【評価結果】

やや良い／計画した成果と同程度の成果が得られた部分もあるが、下回る成果の部分もあった

### 【評価コメント】

筋ジストロフィー治療薬開発に向けて、目的とするジストログリカン糖鎖の合成、抗ジストログリカンヒトキメラ抗体の作製等の一定の成果が得られたが、ジストログリカン-ラミン二重特異性抗体の作製が達成されず、機能評価まで結びつかなかった。また、2020年2月に海外製薬企業から、同様の二重特異性抗体のモデル動物を用いた筋疾患治療効果に関する論文が報告され、本研究コンセプトの有用性が示されたが、他者に先行される形となった。研究者間で糖鎖の合成、抗体の作製、機能評価の連携体制がとられているため、今後の展開が期待される。

以上