

## 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）課題の中止について

第一三共株式会社の研究開発課題中止申請に対し、下記のとおり承認しました。

### 記

#### 1. 中止を承認した課題

課題名	進行性骨化性線維異形成症（FOP）に対する革新的治療薬の創出
代表機関	第一三共株式会社
公募型	一般型
公募タイプ	研究開発タイプ

#### 2. 本課題の概要

本研究は、代表機関と埼玉医科大学の共同研究により見いだされた抗 ALK2 抗体を、国の指定難病である FOP に対する治療薬として実用化することを最終目標とする。FOP は、筋肉や腱などの軟部組織において、本来は形成されない骨組織が形成される進行性かつ重篤な疾患で、世界的には人口 200 万人に対して 1 人程度の割合で発症することが知られている。FOP の原因は、骨形成タンパク質（BMP）の受容体である ALK2 の活性型変異であることが報告されているが、有効な治療法は未だ確立されていない。

本課題の目標達成により、日本発の革新的な希少疾患治療薬の創出が期待される。

#### 3. 評価結果

新規に樹立した FOP 病態モデルマウスにおいて、開発抗体とは別の抗 ALK2 抗体の投与時に、ある条件下で薬剤投与に起因すると考えられる予想外の影響が認められた。この問題を解決するための手段、時間、及び開発遅延に伴う競争力の低下を総合的に判断し、代表機関が会社経営上の方針で本課題の中止を申請しているものであり、本課題の中止は妥当であると判断した。

以上