

革新的先端研究開発支援事業インキュベートタイプ (LEAP)

令和2年度採択研究開発課題 課題中間評価結果

1. 研究開発課題名：

難治性神経筋疾患の画期的治療に向けた筋特異的受容体チロシンキナーゼ活性化剤の開発

2. 研究開発代表者名及び研究開発分担者名等（所属と役職は課題評価時）：

研究開発代表者

菅 裕明 (東京大学 大学院理学系研究科 教授)

研究開発分担者

高木 淳一 (大阪大学 蛋白質研究所 教授)

樋口 理 (長崎川棚医療センター 臨床研究部 室長)

山中 宏二 (名古屋大学 環境医学研究所 教授)

重本 和宏 (東京都健康長寿医療センター 研究所 副所長)

プログラムマネージャー

久保 祐一 (東京大学 大学院理学系研究科 特任専門員)

3. 中間評価結果

本研究は重症筋無力症 (MG)、筋萎縮性側索硬化症 (ALS)、サルコペニアといった根治することが困難な疾病に対し、独自に開発した合成ペプチドを用いて、筋特異的受容体チロシンキナーゼ (MuSK) の活性化をもたらす新規薬剤の開発を目指しており、独創性を持った意義のある研究と考える。

開発コンセプトに適う合成ペプチドおよびネオバイオロジクス (NB) と呼ばれるバイオ医薬品等のリード化合物の創出を短期間に果たしており、独創性を持ち社会的ニーズがある有意義な成果が得られている。結晶構造解析により MuSK 活性化合成ペプチドの作用機序を考察している点は高く評価できる。中間評価までに設定した多くのマイルストーンは達成できており、バックアッププランを並行して進めており、目的達成に向けて前進している点は高く評価される。

創薬研究者、基礎・構造生物学者、臨床系研究者が有機的に連携して研究を進めており、研究体制は適切に機能している。PM も定期的な進捗会議を開催し、研究開発マネジメントを適切に行っている。医薬品開発の特性から戦略的に特許出願を遅らせているが、今後、適切な時期に権利化することを期待する。

一方で、改良型ペプチドを含む次世代薬剤群については、競合の抗体医薬の存在を勘案すると、動物モデルでの安全性試験や投与条件の早急な検討が希求される。また、これまで十分に行われていなかったように思われる人材育成や若手研究者のキャリアパス支援などの取り組みにも期待したい。

以上より、当初計画に照らして優れた成果が得られていると言える。