

医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）中間評価結果

1. 中間評価を実施した課題

課題名	新規の核酸合成とデリバリー技術を用いた核酸創薬研究
代表機関	エーザイ株式会社
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

核酸医薬品は、従来の医薬品では狙えない細胞内分子を高い特異性を持って標的とすることが可能であり、さらに化学合成による原薬製剤であるため、低分子医薬品と同様に安価に製造することが可能である。

一方、核酸医薬品の課題は、「毒性を回避した核酸をデザインし、合成する技術」と「核酸を標的細胞に効率的にデリバリーする技術」の両者の開発が必須なことであり、今回の開発により核酸医薬開発を加速可能とする創薬基盤の構築が期待される。

本課題では化学修飾した人工核酸を活用した毒性回避技術と核酸を安全かつ効率的にデリバリーする新規 LNP の技術を応用することにより、核酸医薬品の課題を解決することを目標とし、静脈内投与による全身投与を可能とした静脈投与製剤と、腹腔内投与によるがん腹膜播種に対する腹腔内投与製剤を開発する。さらに臨床第 1 相試験により、安全性と標的分子に対する POM (Proof of Mechanism) をヒトで実証することを目標としている。

3. 評価結果

研究開発等の進捗状況及び今後の見込みについて評価した結果の概要を以下に示す。

「計画した試験は完遂したものの、想定した有用性が確認できずマイルストーン 2 の目標達成に至っていない。製剤の再検討が必要である。」

以上、研究開発実施計画書にもとづき、進捗について評価した結果、本課題を計画見直しとした。

以上