

**創薬基盤推進研究事業 研究開発課題
事後評価報告書**

事業名 (年度)	創薬基盤推進研究事業 (令和2年度～令和4年度)
研究開発課題名	人工核酸医薬の細胞質内デリバリー
代表機関名	国立大学法人東海国立大学機構 名古屋大学
研究開発代表者名	木村 康明

総合評価：良い

【評価コメント】

チャレンジングな目標を設定して様々な検討を精力的に行い、計画した各研究開発項目で成果を得た。特に、組織特異的デリバリーについて MPON 誘導体の特徴的な分布特性を見出し、誘導體展開に有用な情報を得た点や、DMD のモデル細胞系で MPON の生物活性向上を達成した点を評価する。

ただし、薬物動態や治療効果の評価、および透過性に関わる細胞膜の責任タンパクの詳細解析が、未達である点が惜しまれた。今後は DMD 治療応用に向けて候補品の体内動態や薬効の確認を進めるとともに、MPON デリバリーの責任タンパクの同定や、核酸との分離メカニズムの解析を進めていただきたい。さらに、核酸以外のモダリティへの応用にも取り組むことを望む。

以上