

**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	環状ピロロールイミダゾールポリアミドを用いた CAG/CTG トリプレットリピート病における創薬開発
代表機関名	国立大学法人熊本大学
研究開発代表者名	塩田 倫史

総合評価：優れている

【評価コメント】

計画通り CWG-cPIP の物理化学的解析、凝集体発現抑制の細胞・モデルマウスでの検証、モデルマウスでの病態改善作用の薬効解析を実施した。筋強直性ジストロフィーI 型治療薬創出への期待ができる。

成果としては十分と思われるが、製造方法、投与経路、分布、毒性の確認など一つ一つ確認して、さらに検討を進めていただきたい。

以上