

**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	大規模診療データベースからの既存薬の新規薬理作用抽出に基づく肝臓関連疾患の創薬標的分子の創出
代表機関名	国立大学法人東京大学
研究開発代表者名	林 久允

総合評価：良い

【評価コメント】

大規模診療データから既存薬の新たな効果を見出す目的で、新規コレステロール降下薬の候補を抽出し、その作用に関する分子機構を同定して当初の仮説を検証し、医用分野の進展に資する成果を得た。臨床エビデンスに根差した汎用性のある創薬標的創出基盤技術として、他の既存薬や疾患にも応用可能性があると期待できる。

今後、今回得られた候補化合物について、コレステロール降下作用以外の効果に係る肝炎やグルコース等に対するモデル動物評価や用途特許出願の可能性についても検討していただきたい。また、基盤技術として、偽陽性が多く、使用するデータのバイアスや顕在化していない交絡因子等の影響も想定されるため、スパコン等の計算能力向上や複数データベースの活用等も視野に、さらなる手法の磨き上げや効率化が必要であると思われる。将来の実用化に向けて、解析手法と用いるデータの両面から継続的な検討を進めていただきたい。さらに、治療法がない疾患を含めて創薬ニーズに合致した取組も行い、本手法の有益性を高められることを期待する。

以上