

## 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）課題の中止について

### 1. 中止を承認した課題

課題名	ゲノム編集により作製した疾患 iPS 心筋細胞を用いた肥大型心筋症治療薬の開発
代表機関	武田薬品工業株式会社
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

本課題では、肥大型心筋症の代表的な病態である心筋の肥大化を示す疾患ヒト iPS 心筋細胞による表現型スクリーニングで見出した肥大化抑制作用を示す低分子化合物の最適化と薬効薬理研究を進め、臨床開発候補化合物を見出す。さらにその化合物による第 I、II 相臨床試験を実施し、Proof of Concept 取得を目標とする。

また、臨床現場と連携して国内外における患者レジストリ構築、及びバイオマーカーの探索研究も併行して実施する。

### 3. 評価結果

肥大化抑制作用を示す低分子リード化合物の最適化研究と薬効薬理研究を進め、臨床候補化合物の創製を目指したが、クライテリアを満たす臨床候補化合物を見出すことができなかった。一方、患者レジストリ研究で得られた成果を肥大型心筋症の病因病態解明及び次世代の創薬のために活用する方針で代表機関が本課題の中止を申請しているものであり、本課題の中止は妥当である。

以上