

研究開発課題中間評価結果

事業名（領域名）	次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業 (RNA 標的創薬技術開発)
公募研究開発課題名	新規 RNA 標的医薬品の研究開発
評価研究開発課題名	mRNA 構造を標的とした新規免疫制御医薬研究開発
代表機関名	国立大学法人京都大学
研究開発代表者名	竹内 理
所属・役職	大学院医学研究科医化学分野・教授
全研究開発期間	令和3年度開始～令和7年度終了予定

【評価結果】

大変優れている／計画を超えて進捗している

【評価コメント】

免疫系を制御する Reg1 および Roquin を対象として、RNA 発現を増強する核酸医薬の研究を進め、様々な疾患モデルによる検証が順調に進展し、実用化を目指した対外的な特許化および論文発表も行われ、RNA 発現の増強による全く新しい免疫制御法に発展する事が期待される点が高く評価された。特に、新しい免疫制御法の開拓に期待が寄せられた。

一方で、RNA 構造のグローバルな解析において他の RNA や周辺分子への応用展開が容易であるかどうか、今後の検討が必要であるとの指摘があった。また、in vivo 薬効評価の投与経路が限定されており、臨床で受容される投与経路や適切な DDS、製剤開発が必要との意見も挙げられた。

RNA 構造のグローバルな解析においては、興味深い取り組みで一定の結果を得てきてはいるが、このプログラム中だけで完了するのではなく、スケール感を持ったプログラムに引き継がれていくことが望まれる。