

## 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	RNA 結合 PPR 蛋白を用いた難治性神経筋疾患における異常 RNA 標的治療
代表機関名	国立大学法人山口大学
研究開発代表者名	中森 雅之
所属・役職	大学院医学系研究科 臨床神経学講座・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】

優れている／計画を超えて進捗している

### 【評価コメント】

独創的な PPR 技術の応用により、優れた成果が得られ、モデルマウスでの有効性も確認され、機能融合型も視野に入れ、基盤特許も確保されている。研究は順調に進み、AAV ではなく非ウイルスベクターの検討している点、また治療薬の開発に向けて潜在的な能力を示す非臨床 POC が進展しており、安定性試験や毒性試験も実施されている点が評価された。

一方、実臨床への応用に向けた製薬企業との協業戦略が不明確であり、対外成果発表が少ないことが懸念点として挙げられた。外部への発表や特許取得が不足しており、計画通りに進んでいるかが不透明で、将来の計画性や実行性に不安があるとの指摘があった。

技術の優れた応用と順調な研究進捗があることから、今後も戦略や対外発表においてより一層の工夫をしながら進めていくことが期待される。