

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	疾患の原因となる変異遺伝子のみを正常遺伝子と区別して抑制する SNPD-siRNA 核酸医薬品実用化のための非臨床試験基盤の確立
代表機関名	国立大学法人東京大学
研究開発代表者名	程 久美子
所属・役職	大学院理学系研究科・准教授
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】

一塩基の違いを識別する siRNA のコンセプトが、実際に Kras 変異や PIK3CA の変異を識別して効果を見出していることが明らかにされ、必要な知財の確保およびベンチャー立ち上げによる実用化に向けた取り組みも進められている点が高評価となった。

オフターゲットの抑制も含んでいることから、今後は DDS との組み合わせにより、より効果的な治療法が期待され、特に新しいがん・遺伝病等の治療薬としての開発が医療分野において大きな貢献ができる可能性があるという評価された。

一方で、効果的な DDS との組み合わせに関する検討が不十分である点や、臨床試験を加速するために CRO の活用を検討する必要があるという指摘もあった。