

**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5年度～令和6年度）
研究開発課題名	異常タンパク質の脳内伝播を標的とする中枢神経変性疾患の非侵襲的な核酸ナノ医薬品の開発
代表機関名	国立大学法人徳島大学大学院
研究開発代表者名	金沢 貴憲

総合評価：優れている

【評価コメント】

本研究は、パーキンソン病の発症・進行機構の1つとして考えられる α -シヌクレイン（SNCA）に着目し、脳内各領域でSNCA遺伝子のノックダウン効果を実証したりガンド修飾SNCA標的HDO搭載Nose-to-Brainミセルの有用性解明をDDS研究者および薬物動態研究者と連携して進めた。結果、イオン液体と併用することでNose-to-Brainミセルの脳内送達性・滞留性を高めることやPETイメージングにより経鼻投与後の脳内移行性や脳内分布が明らかになり、脳神経疾患治療に対する経鼻投与という新たな非侵襲的投与経路を開発したことは評価できる。

ただし、今回、Nose-to-Brainミセル技術の可能性は示されたものの、さらに検討すべき点は多い。本連携体制を活用し、Nose-to-Brainミセル経鼻投与後のデリバリー経路や脳内移行メカニズムを明らかにして、実用化に向けた非臨床試験を進めることを望む。

以上