

医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）中間評価結果

1. 中間評価を実施した課題

課題名	iPS 細胞由来 ADPKD 病態モデルを用いた新規化合物の探索及び非臨床 POC の獲得
代表機関	リジェネフロ株式会社
公募型	スタートアップ型
公募タイプ	研究開発タイプ

2. 本課題の概要

本研究は、治療満足度の低い常染色体優性多発性嚢胞腎（以下、「ADPKD」という。）に対する新機序の医薬品を創出することを最終目標とする。本課題においては、iPS 細胞から作成された腎嚢胞を用いたスクリーニング系で各種化合物を効率的に評価し、ヒット化合物を出発物質として最適化を行い、開発に適した化合物の創出を進める。さらに病態動物モデルで効果を確認し、ADPKD の治療薬候補となるリード化合物を選定して非臨床 POC を取得することを目標とする。

3. 評価結果

研究開発等の進捗状況及び今後の見込みについては以下のように評価されたため、当機構は本委託研究開発の継続を決定した。

〔評価結果概要〕

スクリーニング評価系が完成し、ヒット化合物が複数得られている。開発候補化合物が得られつつあり、研究は着実に進んでいることから、今後も計画通りに進捗することが期待される。

以上