

令和7年度「創薬ベンチャーエコシステム強化事業／創薬ベンチャー公募」中間評価（4）報告書

1. 中間評価を実施した課題

課題名	先天性無歯症患者の欠如歯を再生する新規抗体医薬品の開発
研究開発機関	トレジェムバイオフーマ株式会社
リード認定 VC	JIC ベンチャー・グロース・インベストメンツ株式会社

2. 本課題の概要

先天性無歯症とは、生まれつき歯が欠如している病態を指し、原因遺伝子としては、EDA1、WNT10A などが同定され、その多くがマウスとヒトで共通である。成人以降に義歯や歯科インプラントを用いた代替治療を施行するしかなく、根治的な治療として歯の再生治療が強く望まれていた。我々は、USAG-1 遺伝子欠損マウスにおいて、過剰歯を形成することを見出し、1 種類のタンパクにより歯の数が増えることを明らかにし、標的分子を同定した。また、先天性無歯症モデルマウスと過剰歯モデルマウスの USAG-1 遺伝子欠損マウスの交配により、歯の形成が回復することを見出した。ヒト化抗 USAG-1 抗体 TRG035 は、先天性無歯症モデルマウス・ビーグル犬において単回投与にて欠如歯を回復できることを明らかにした。PMDA 対面助言を完了し、プロトコルを確定した。京大病院 Ki-CONNECT、医学研究所北野病院、トレジェムバイオフーマ株式会社、AMED との産官学の連携により、昨年10月よりおよそ1年にわたる健常人を対象とした第1相臨床試験を実施している。

3. 評価結果

ステージゲート通過

【評価コメント】 国内 P1 試験を終了し Pre-IND meeting を実施する等、ステージ1のマイルストーンを達成していること、体制面も充実し計画の実現性が高いことからステージゲート通過と評価されました。なお、臨床試験のエンドポイントは導出候補先の製薬企業が POC 取得を判断するにあたり大きく影響するので、製薬企業へ確認することを勧めます。

以上