

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	低分子化合物 GXV-001 の脆弱 X 症候群を対象としたグローバル臨床第 2 a 相 POC 試験
研究開発機関	株式会社ジェクスヴァル
リード認定 VC	三菱 UFJ キャピタル株式会社

2. 本課題の概要

脆弱 X 症候群 (Fragile X Syndrome, FXS) は、FMR1 遺伝子の変異による希少な神経発達障害であり、知的障害、発達遅延、自閉症様行動、ADHD 様行動、睡眠障害 (Insomnia、Parasomnia 等)、不安、感覚過敏等の多様な症状を呈し、患者や家族の QOL が著しく影響を受けます。現在、根本的な治療法はありません。日本では約 5,000 人以上の患者が推定されますが、本邦での診断率は諸外国に比べて著しく低く、診断されている患者はわずかです。GXV-001 は、中枢疾患を対象として開発中の新規低分子化合物であり、非臨床試験において、標的に対する選択性、病態の分子メカニズムに対する活性、および FXS 動物モデルにおける評価が完了しました。健康成人を対象とした第 I 相試験では、薬物動態、安全性・忍容性のエンドポイントを達成し、POM についても確認しました。本事業では、FXS 患者を対象とした第 IIa 相試験の実施を計画しています。

3. 評価結果

ステージゲート不通過

【評価コメント】 計画中の製造を進め、治験開始に必要な出資を募るという提案と捉えました。ステージゲート評価時点では、認定 VC からの出資額が事業目標水準に達しておらず、資金調達の見通しが要件を充たしていないことなどから、ステージゲート不通過と評価されました。資金調達を含めた課題の解決後、改めて応募されることを期待します。

以上