

研究開発課題事後評価結果

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）
事業年度	令和3年度～令和7年度
公募研究開発課題名	新規 RNA 標的医薬品の研究開発
研究開発課題名	新規修飾 siRNA と核酸デリバリーの最適化による難治性卵巣がん治療に関する研究開発
代表機関名・役職名	金沢大学・教授
研究開発代表者名	谷口 博昭

【評価結果】

優れている／計画した成果をやや上回る成果が得られた

【評価コメント】

卵巣がんの標的として PRDM14 を確定し、予後の相関も確認した上で卵巣腫瘍の腹膜播種への適応で開発する方針を決定し、siRNA の配列及び化学修飾を最適化してリガンドを導入することで active targeting に成功し、さらに、Y shaped block cationer 複合体 (YBC) を形成して血中滞留性を向上するなどの目標を達成したこと、各種剤型の効果をモデル動物で確認して最終的な開発候補品の決定に至っていること、加えて、コンジュゲートに関する知財も確保出来ていることが評価された。製剤化に用いる YBC の GMP 品合成は既に可能となっており、課題間連携で原薬合成の体制整備も進められ、実用化に向けた必要条件が整えられている。

今後、関連研究の論文化を進め、また、知財戦略等の幾つかの懸念点を克服し、臨床応用に向けた迅速なステップアップを期待する。