

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 | 疾患の原因となる変異遺伝子のみを正常遺伝子と区別して抑制する SNP-D-siRNA 核酸医薬品実用化のための非臨床試験基盤の確立 |
| 代表機関名・役職名 | 東京大学・特任研究員 |
| 研究開発代表者名 | 程 久美子 |

【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】

1 塩基の違いを正確に識別する siRNA の技術は、独創的で国際的にも競争力があり、広い範囲に応用出来る可能性もあり、将来期待される技術と考えられる。AMED-FLuX や PSP0 からの助言を受け、この技術を膵がん肝転移を対象として応用する研究計画に変更し、siRNA の配列決定、核酸修飾法と DDS 法の決定、モデル動物における薬効確認、課題間連携による GLP 試験用原薬製造を終了し、非臨床試験開始まで到達していることが評価された。オフターゲット効果が少なく、安全性予備試験でも大きな毒性が見られておらず、がん治療薬創生のステップを適切に進めた。

膵がん肝転移での効果の理論的根拠の検証が必要であるものの、必要な知財も確保されており、ベンチャーを立ち上げるなどの社会実装に向けた展開もされている。今後の臨床開発の加速のため、製薬会社との連携についての検討も必要な時期である。