

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	RNA 結合 PPR 蛋白を用いた難治性神経筋疾患における異常 RNA 標的治療
代表機関名・役職名	山口大学・教授
研究開発代表者名	中森 雅之

【評価結果】

やや良い／計画した成果と同程度の成果が得られた部分もあるが、下回る成果の部分もあった

【評価コメント】

植物由来の RNA 結合タンパク質（Pentatricopeptide Repeat Protein）を用いて異常伸長 mRNA に起因する疾患の治療が可能であることを筋強直性ジストロフィー1型（DM1）モデル動物で示し、一流誌での成果発表に繋げたことが評価された。

一方、本技術は、独創的で世界的に優位性があり、難病である DM1 に新たな治療法を提供するという社会ニーズにも応え得るものとして期待できるものの、実用化に向けた研究の進捗や研究成果の論文化が十分ではなく、今後の研究開発体制も不明瞭である。また、本技術は他の疾患治療への展開も期待出来るが、他疾患への応用研究の目標が達成出来ていないと評価された。さらに、安全性評価を含めた AAV ベクターの適切性が懸念される。