

**創薬基盤推進研究事業 研究開発課題
事後評価報告書**

事業名（年度）	創薬基盤推進研究事業（令和5年度～令和7年度）
研究開発課題名	ブランチポイントを標的としたエクソンスキップ型アンチセンスオリゴ核酸の新規設計法とそのin vivo有効性検証法の開発
代表機関名	京都大学
研究開発代表者名	栗屋 智就

総合評価：良い

【評価コメント】

本研究は、アンチセンス核酸を用いたエクソンスキップ法を、より迅速かつ低コストで社会実装するための基盤技術の確立を目標とし、複数のエクソンスキップ核酸医薬品の評価を進めてきた。市販薬を上回るエクソンスキップ効率を示す活性が確認されたこと、ならびに関連する知的財産の出願が行われたことは評価できる。

一方で、モデル動物の作製など時間を要する研究項目が含まれていたため、研究期間内に最終的な成果の創出には至らなかった。各エクソンを標的とした配列については、今後、エクソンごとに臨床開発の可能性を個別に検討するとされており、実用化への展開に期待する。また、ブランチポイントを標的とするアンチセンス核酸の効率的かつ効果的な選定手法については、なお改善の余地があると考えられるため、引き続き検討を進めることを望む。あわせて、in vivo での有効性検証についても進展を期待する。

以上