

**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	大規模がんゲノム情報に基づく異常スプライシングに対する新たな創薬標的の開発
代表機関名	国立がん研究センター
研究開発代表者名	中奥 敬史

総合評価：優れている

【評価コメント】

本研究は、計画に沿って着実に研究を推進し、免疫チェックポイント阻害剤の感受性向上につながる新たな作用機序を見いだただけでなく、その分子メカニズムの解明や臨床情報等を用いた後方視的解析検証を実施した点が評価できる。また、基盤技術としても進展しており、今後の研究展開につながる重要な成果を挙げている。さらに、論文発表、特許出願、企業との共同研究契約の締結に加え、スプライシング制御機構の破綻を介して ICI 感受性を高める CMTR2 変異のカタログ化や可視化基盤の構築を実現しており、研究成果の社会実装や発展可能性も期待できる。CMTR2 機能喪失が人体に及ぼす影響や安全性については、さらなる検証が必要である。

今後は、CMTR2 機能喪失に伴う副作用リスクの評価を進めるとともに、解析技術のさらなる高度化に加え、得られた知見を活用した新規治療薬の創出へと展開し、実用化につながる研究開発へ発展することを望む。

以上