

**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6年度～令和7年度）
研究開発課題名	中枢性希少疾患シアリドーシスに対するmRNA医薬の開発と脳内動態制御基盤の確立
代表機関名	徳島大学
研究開発代表者名	南川 典昭

総合評価：良い

【評価コメント】

本研究は、中枢性の遺伝性希少疾患であるシアリドーシス（SiD）を対象とした mRNA 医薬の開発に取り組むものであり、modNEU1 mRNA の最適化を進めるとともに、疾患モデル培養細胞において NEU1 酵素活性の回復を確認した点は評価できる。さらに、疾患モデルマウスにおいて、発症後の mRNA 投与による症状改善効果を示したことは、治療介入の実現可能性を示す成果でもあり、臨床展開が期待できる。

本検討で得られた送達方法や薬物動態に関する基礎的知見を基盤として、今後、作用機序の解明、DDS の効果向上及び投与経路の最適化並びにヒトへの外挿性を考慮したさらなる検証を行い、本治療法の臨床応用・実用化につながる成果へと発展することを期待する。

以上