

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	最適DDSを用いたヘテロ核酸による治療法構築と薬物動態解析
代表機関名	東京科学大学
研究開発代表者名	山田 剛史

総合評価：良い

【評価コメント】

本研究は、BBB 通過型ヘテロ核酸（HD0）の有用性検討について、課題評価委員会のコメントを踏まえ、研究対象を ALS および DM1 に絞って研究を推進した。既存リガンドに代わる新規 DDS リガンド候補化合物 X を見出し、中枢移行性ならびに遺伝子抑制効果を維持しつつ、安全性および臓器選択性の改善可能性を示した点は評価できる。

今後は、本研究で得られた知見を基盤として、疾患モデルにおける表現型の改善効果を実証するとともに、薬効発現に必要な十分量の中枢移行が達成されていることを確認し、中枢移行性に優れた HD0 創薬基盤技術としての有効性をさらに明確化することを望む。

以上