令和８年度「創薬ベンチャーエコシステム強化事業／創薬ベンチャー公募」中間評価（２）報告書

1. 中間評価を実施した課題

課題名	病原性 CUG リピート RNA を標的とする塩基配列特異的 RNA 結合蛋白質による筋強直性ジストロフィー1 型に対する革新的治療薬の開発
研究開発機関	エディットフォース株式会社
リード認定 VC	Newton Biocapital Partners, Inc

2. 本課題の概要

本課題は、植物由来の PPR（PentatricoPeptide Repeat）モチーフを活用し、標的 RNA 配列に特異的に結合する人工タンパク質を設計・開発する独自技術を応用し、治療法のない難治性遺伝疾患・筋強直性ジストロフィー1 型（DM1）の原因である CUG リピート RNA の病原性を抑制する根本治療薬の開発を進めます。疾患モデルマウスでは、PPR タンパク質を発現する AAV ベクターのたった一回の投与により症状の大幅な改善と長期効果を確認しました。現在、IND 申請を目指し、安全性評価と製造プロセスの整備を進行中です。本技術は革新的な RNA 標的型治療として、他の疾患への応用も期待されています。

3. 評価結果

ステージゲート通過

【評価コメント】 RNA 標的薬という挑戦的な取組みに、規制対応、前臨床試験、製造ともに着実な進捗が認められ、ステージゲート通過と評価されました。リード VC と共に資金調達達成の確度を高め、あらゆる可能性を視野に入れて事業継続されることを期待します。

以上