

医療分野研究成果展開事業/研究成果最適展開支援プログラム (AMED・A-STEP)

平成 27 年度成果報告書 (公開)

プロジェクトリーダー (企業責任者)	帝人ファーマ株式会社 丸尾 享
研究責任者	国立大学法人東京大学 医学部附属病院 精神神経科 山末 英典
参加機関	帝人ファーマ株式会社、国立大学法人東京大学
研究開発課題	革新的な自閉症中核症状治療法の創出

### 1. 研究開発の目的

自閉症スペクトラム障害は出現頻度が高いにもかかわらず、中核症状治療薬がないため、大きな社会問題となっている。自閉症スペクトラム障害中核症状の治療薬として開発する目的で、既存のオキシトシン経鼻製剤を用いた検討が報告されているが、治療効果を科学的に検証した報告はほとんどなく、また、薬剤投与に対する患者さんの負担が大きいなど服薬コンプライアンスが低く、実際の医薬品として開発／実用化していく上で大きな課題があった。そこで、治療効果を感度良く検出するバイオマーカーの探索、及び薬剤投与の負担の少ない製剤設計により、未だ有効な治療薬や介入方法が確立されていない自閉スペクトラム症中核症状に対する世界初の治療薬を創出する。

### 2. 研究開発の概要

これまで従来の症状評価に加えて、fMRI による脳活動評価やビデオを用いた対人場面で見せる表情の定量化に基づく評価を実施してきたところであるが、更に治療効果を事前に高精度に予見するバイオマーカーを探索する。また、既存のオキシトシン経鼻製剤の使用における課題として、投与に際した幾つかの課題があるため、これらの課題を解決できる新規製剤の設計開発を行う。

### 3. 研究開発の成果 (平成 27 年度)

#### (1) 治療効果を感度良く検出するバイオマーカーの探索【東京大学】

治療開始前に客観的な検査から得られた複数のバイオマーカーを組み合わせ、治療後の治療効果が得られるかどうかを高い精度で予測出来る方法を開発した。この方法を用いることで、治療効果が期待出来る患者さんを治療開始前に見分けることが可能になることや、治療効果が期待しにくい患者さんには効果が期待しやすい治療方法を検討出来ること、などの正確な個別化医療の実現が期待される。

#### (2) 薬剤投与の負担の少ない製剤設計【帝人ファーマ株式会社】

製剤設計の検討を鋭意行い、投与回数が少なく、薬剤投与の負担の少ない新規製剤の開発の目処を立てた。新規製剤の設計において、機能面だけでなく、医薬品として開発を進めるために必要な品質面での設計も目処を立てた。