

研究課題別事後評価結果

1. 研究課題名： 画期的な新規核酸医薬の分子技術の創出
2. 研究代表者名及び主たる研究参加者名（研究機関名・職名は研究参加期間終了時点）：
研究代表者
横田 隆徳（東京医科歯科大学大学院医歯学総合研究科 教授）
主たる共同研究者
和田 猛（東京理科大学薬学部 教授）
小比賀 聰（大阪大学大学院薬学研究科 教授）
村上 正裕（大阪大谷大学薬学部 教授）
津本 浩平（東京大学大学院工学系研究科 教授） 研究終了：～平成 29 年 4 月

3. 事後評価結果

○評点：

A+ 非常に優れている

○総合評価コメント：

本研究課題では、新規核酸医薬創製のために分子技術を活用したヘテロ 2 本鎖核酸医薬の開発を目指した。従来の核酸医薬よりはるかに高い有効性を示す「ヘテロ 2 本鎖核酸(HD0)」の有効性の機序を明らかにし、アンチセンス核酸の副作用の軽減に成功した。また、異なる分子構造で新規の薬効を示す各種第 2 世代のヘテロ核酸を複数種開発して特許出願した。

ヘテロ 2 本鎖核酸の有効性・安全性の向上の基盤となる、エチレン架橋型核酸及びシクロプロパン導入型糖部架橋核酸、BNAPシリーズ、人工カチオン性ペプチドなどの複数の新規核酸合成技術に成功し、今後の核酸医薬・診断薬開発において大きな発展が見込める。ヘテロ 2 本鎖核酸の DDS の開発としては、ヘテロ 2 本鎖核酸を消化管から有効に送達しできる技術を確立した。また、中枢神経を制御できるヘテロ 2 本鎖核酸化合物の開発にも成功して、アルツハイマー病など神経難病の分子標的治療に大きな突破口ができた。

化学・薬学・工学・医学の異種専門家が緻密に連携することにより、上記の優れた成果が生み出されており、研究代表者の並外れた共同研究推進の指導力によると推察される。今後は分子技術を活用して、ヘテロ 2 本鎖核酸の有効性、安全性及び DDS のさらなる向上を目指し、各種医薬開発への展開が広がることを期待したい。