

中間評価（ステージゲート審査）結果

1. 研究課題名： DDS 内在型 2 本鎖核酸医薬技術の創生
2. 研究代表者： 吉岡 耕太郎（東京科学大学 総合研究院・核酸・ペプチド創薬治療研究センター 特任講師）
3. 中間評価（ステージゲート審査）コメント

本課題は、ナノレベルの核酸化学修飾設計や原子レベルの標的分子への結合解析等の分野横断的な新規技術を駆使して、個々の標的臓器に即した DDS 内在型核酸分子の創出を目的としている。

フェーズ 1 では、オーバーハング 2 本鎖核酸（ODO）構造の血中内安定化と細胞内乖離、トランスフェリンへの血中内結合と細胞内乖離、及び ODO の安全性評価などに取り組み、高い成果を上げた。また、ODO 分子配列の設計プラットフォームを構築し、今後の臨床応用に向けた基盤技術を創生するなど、新たな課題にも挑戦している。

フェーズ 2 では、脳組織送達に最適な ODO 技術の確立、あらゆる毒性克服を可能とする ODO 技術の開発、標的組織・細胞特異的な ODO 技術の創生に取り組む。生体内で安定的かつより高い DDS 能を有する ODO を見い出し、神経疾患等に対する核酸医薬品開発への展開を期待する。

以上