

中間評価（ステージゲート審査）結果

1. 研究課題名： 新しい機序で作用する核酸医薬の開発
2. 研究代表者： 勝田 陽介（熊本大学 大学院先端科学研究部 准教授）
3. 中間評価（ステージゲート審査）コメント

本課題は、「Staple 核酸によるタンパク質翻訳反応抑制技術」を基軸とした研究を進め、今までにない機序で作用する核酸医薬への応用や生体内反応の分析ツールへの発展を目指している。フェーズ1では、独自の分子技術を用いて標的遺伝子をノックアウトするアイデアを、複数の系において実証することに成功している。これにより、staple 核酸が希少疾患に対する有望なアプローチとなり得ることを明らかにしており、十分な成果として評価できる。フェーズ2では、フェーズ1で実証した技術を臨床試験の段階まで進め、将来的には希少疾患の治療技術として確立するとともに、抗ウイルス薬への展開も進めるといった、創薬応用までつなげる挑戦的な計画が立案されている。Staple 核酸の構造解析や作用機序等の基礎的なサイエンスの深化にも期待する。

以上