

科学研究費助成事業（基盤研究（S））研究進捗評価

課題番号	15H05721	研究期間	平成27年度～平成31年度
研究課題名	CRISPRによるRNA病モデル iPS細胞・動物の構築と病態解 明・治療薬創製	研究代表者 (所属・職) (平成30年3月現在)	萩原 正敏 (京都大学・大学院医学研究 科・教授)

【平成30年度 研究進捗評価結果】

評価	評価基準	
	A+	当初目標を超える研究の進展があり、期待以上の成果が見込まれる
○	A	当初目標に向けて順調に研究が進展しており、期待どおりの成果が見込まれる
	A-	当初目標に向けて概ね順調に研究が進展しており、一定の成果が見込まれるが、一部に遅れ等が認められるため、今後努力が必要である
	B	当初目標に対して研究が遅れており、今後一層の努力が必要である
	C	当初目標より研究が遅れ、研究成果が見込まれないため、研究経費の減額又は研究の中止が適当である
(意見等)		
<p>本研究は、スプライス異常に起因するRNA病について、独自に見いだしたスプライス制御小分子化合物TG003やRECTASを中心に、スプライス介入ルールの解明というアプローチから極めて優れたポストゲノム創薬研究である。</p> <p>当初の研究計画どおりに順調に進展しており、高いインパクトファクター論文の発表、多くの学会発表及び新聞などの媒体への公表も積極的に実施していることは高く評価できる。さらに、TG003の動態を改善した化合物TG693の合成展開も評価できる。残りの2年間も高い研究遂行レベルを維持されるものと期待する。今後、スプライス介入ルールの普遍性の評価、SNP（一塩基変異多型）導入培養細胞及び動物モデルの確立によって、臨床開発研究の加速の足掛かりとなることを期待する。</p>		