

平成26年度 科学研究費助成事業（特別推進研究）  
研究進捗評価 現地調査報告書

研究課題名	脳内に核酸医薬を送達する高分子ミセルの創製と脳神経系難病の標的治療への展開
研究代表者名 (所属・職)	片岡 一則（東京大学 大学院工学系研究科 教授）

評価コメント

研究代表者は高分子ミセルを活用したDDS（薬剤徐放システム）の開拓で世界をリードし、がん治療への有効性を実証するなどの成果を上げてきた。本研究課題は、それらの成果の上に乗って脳内部へ薬剤を送り込むための技術を開拓しようとする意欲的な研究である。脳は高度に発達した生体バリア（血液-脳関門（BBB）など）により守られているため、薬剤の送達が極めて困難とされている。したがって、アルツハイマー病などの脳神経系疾患を治療するためには、BBBを克服して遺伝子・核酸医薬を脳神経系に送り込む手法が必要となる。本研究課題では、分子設計グループ、機能評価グループ、展開研究グループが一体となって、高分子ミセルの開発、生物学的検討、疾患モデルの治療に取り組み、全方位的なチームを構成している。

研究成果としては既に、サイズやグルコースの含有など、高分子ミセルの特性を適切に設計してBBBを効率的に通過させることに成功し、既存のDDSシステムに比べ125倍もの集積性を示す方法を見いだしている。また、新たな設備として購入した共焦点・二光子顕微鏡により脳組織の深部に至る観察が実現できたことにより、従来困難であった高分子ミセルのリアルタイム脳内分布の確認が可能となり、薬剤移行のメカニズムがより明確に捉えられるようになっている。

これらの成果が更に精密な高分子ミセルの設計へとつながるだけでなく、核酸医薬を用いた脳疾患への治療へと展開されることを大いに期待する。