

科学研究費助成事業（特別推進研究）研究進捗評価

課題番号	25000006	研究期間	平成25年度～平成29年度
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（公益財団法人川崎市産業振興財団・ナノ医療イノベーションセンター・センター長）		

【平成28年度 研究進捗評価結果】

該当欄		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

（評価意見）

本研究は、生体バリア（BBB）性が高く、薬剤送達が極めて困難と言われている脳内部を対象として核酸医薬を送達する技術を開拓しようとする意欲的な研究である。これまでに、サイズやグルコース含量などの設計を適切に行った高分子ミセルの利用により、既存の薬剤徐放システムに比べて125倍もの集積性を示す結果が得られている。研究を進める上で、分子設計グループ、機能評価グループ、展開研究グループの役割分担が研究組織としてうまく機能しており、それぞれ高分子ミセルの設計・開発、生物学的な送達を確認するための実証実験、疾患モデルの治療などにおいて、当初目的に沿った期待どおりの研究成果が数多く得られている。これらの順調な研究成果により、アルツハイマーなどの脳神経系疾患の治療への応用の可能性が示唆されており、今後の展開が大いに期待できる。

【平成30年度 検証結果】

検証結果	当初目標に対し、期待どおりの成果があった。
A	<p>本研究では、血管内腔側内皮に局在するグルコース輸送タンパク質を標的とする高分子ミセルを創製し、結果として核酸医薬を脳内送達することに成功し、アルツハイマー病の発症に関わる酵素の産生を抑制できる可能性を示した。さらに、生体内で速やかに酵素分解を受ける mRNA のミセル内包安定化を達成し、脳室内局所投与による単鎖抗体のその場産生を実現することに成功した。</p> <p>また、研究を進める上での役割分担など、組織もうまく機能しており、国内外の製薬企業との間で共同開発に向けた活動が行われるなど、研究成果の社会実装も着実に進展していると評価できる。</p>