

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	26000007	研究期間	平成26(2014)年度 ～平成30(2018)年度
研究課題名	リピート結合分子をプローブとしたトリヌクレオチドリピート病の化学生物学研究		
研究代表者名 (所属・職)	中谷 和彦 (大阪大学・産業科学研究所・教授)		

【平成29(2017)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）

ハンチントン病などのトリヌクレオチドリピート病は人が持つ遺伝子中のリピート配列の異常伸長が発症原因の遺伝子疾患である。本研究は、研究代表者らが開発したトリヌクレオチドリピートに結合する小分子を用いてリピート伸長を化学的に調節し、リピート短縮による発症抑制などの世界で初めての独創的治療法を開発を行うものである。この当初目標に向けて順調に研究は進展しており、期待通りの研究成果が見込まれる。特に、ハンチントン病モデルマウスの線条体において、結合分子の投与によりリピート長が短縮される効果を確認したことは大きな前進である。難しい課題への挑戦であるが、本研究期間を通して必ずや意義ある研究成果を上げるものと期待する。

【令和2(2020)年度 検証結果】

検証結果	当初目標に対し、期待以上の成果があった。
A+	本研究は、遺伝子中のリピート配列の異常伸長が発症原因とされるヒト遺伝子疾患（ハンチントン病等）に関し、独自に開発した三塩基反復構造に結合する小分子を用い、リピート伸長の化学的調節による発症抑制など、治療法を開発を目指したものである。順調な研究進展の結果、特にハンチントン病モデルマウスの線条体において、実際に結合分子の投与によりリピート長が短縮される現象が確認されるなど、基礎学術の深化に加え、低分子創薬による核酸医療の可能性を示し、難治疾患治療に活路を開いた点で、計画以上の成果が得られたと評価される。