

**研究成果展開事業 研究成果最適展開支援プログラム**  
**FS ステージ 起業検証タイプ 事後評価報告書**

研究開発課題名	: コンフォメーション病の画期的な根本的予防治療法開発に関する研究
プロジェクトリーダー (研究責任者)	: 松原悦朗(弘前大学)
側面支援機関	: 弘前大学

### 1. 研究開発の目的

異常な立体構造をとり細胞内外に蓄積する重合蛋白が(神経)細胞変性の原因となる「コンフォメーション病」の根本的予防・治療薬開発を目指す。根本的治療のないコンフォメーション病の現状を一気に打破し、根本的予防的・先制医療を視野に据えた本申請研究で、イノベーション創出を図る。特に Aβ 重合体カスケード仮説に基づく発症病態メカニズム研究で得られた知見を応用することで、アルツハイマー病(以下、AD)をはじめとするコンフォメーション病に対する全く新しい予防・治療薬の創薬事業など、市場性の高い事業展開と起業を実現するため、多数の特許申請シーズ獲得を目指す。起業後は新規に取得する予防・治療技術シーズを製薬メーカー等へライセンス移譲することで臨床実用化達成を目指す。

### 2. 研究開発の概要

#### ①成果

本課題では高コストで予防治療(先制医療)の実現が困難な抗体医療に代わりに、より安価で AD を予防的に根絶する Aβ 重合体標的ワクチンやペプチド化合物の開発を目標に研究を行った。1種類の Aβ 重合体特異的ワクチンの抗原取得に成功し(達成度 100%)、それを基にしたワクチンコンストラクトは、現在作製中である(達成度 50%)。予防的・先制医療用ペプチド化合物は、課題シーズ抗体と同等の活性を有する3種類のペプチドの取得に成功した(達成度 100%)。さらに本課題シーズ抗体が重合体立体構造特異的である特性を活用し、本抗体がこの立体構造異常を発症基盤とするコンフォメーション病の普遍的な根本的予防・治療薬となりうる可能性を示唆するデータを得た(達成度 100%)。

#### ②今後の展開

高コストで予防治療の実現が困難な抗体医療に代わって、より安価で、しかもADを予防的に根絶しうる、本課題で開発推進したシーズの特許申請を最優先事項として実現し、起業化への準備を行う。また獲得シーズでの前臨床試験を可及的速やかに施行し、製薬メーカー等へライセンス移譲に必要な十分な研究成果(特許申請を含む)をできるだけ多数確保し、起業化を実現・維持・発展させる礎とする。

### 3. 総合所見

十分な成果が得られたとは言えないが、今後の取り組み次第でベンチャー企業の創出等の可能性はある。

親抗体(72D9)と同等な活性を有するペプチド化合物の取得に成果はあったが、ワクチンコンストラクトの作製やペプチド化合物の解析、他のコンフォメーション病に対するペプチド化合物の開発は、当初目標を達成できず、ベンチャーのビジネスモデルの根幹である特許の取得もできなかった。

当初計画が過大な目標設定であったために目標は達成できなかったと思われるが、得られた結果は今後に向けてのステップになっており、先行する親抗体の有用性が認められた場合には、新たなイノベーシ

ヨンの創出が期待される。