

# 事後評価報告書

開発実施企業：株式会社ステリック再生医科学研究所

代表研究者：新潟大学医歯学総合病院第3内科 講師 鈴木 健司

研究開発課題名：RNA 干渉によるクローン病腸狭窄症治療薬

## 1. 研究開発の目的

本新技術は、全世界で100万人以上が罹患している炎症性腸疾患であるクローン病を対象疾患とした治療薬に関するものである。

従来、炎症・免疫制御医薬による抗炎症治療が行われてきたが、腸狭窄に対する外科手術症例は減少しておらず、患者は再狭窄・入退院の繰り返しを余儀なくされており、腸狭窄の原因である線維化を如何に非侵襲的に抑制するかが課題である。本新技術では、腸線維化狭窄の原因になっている糖鎖遺伝子を明らかにし、それを選択的に阻害するRNA干渉医薬品により、クローン病における腸狭窄症の治療が可能となり、患者のQOL改善が期待される。

## 2. 研究開発の概要

### ① 成果

本開発ではまず、クローン病の患者の大腸病変で硫酸化糖が増加していることに着目し、糖硫酸転移酵素（CHST15）の発現と機能を、疾患モデル動物を用いて解析した。その結果、疾患モデル動物の大腸病変部位でCHST15の発現が亢進すること、またCHST15が腸線維化に関連することを見出した。次にCHST15の発現を抑制するsiRNAであるSTNM01をデザイン・GMP製造し、動物を用いて前臨床毒性試験を実施した。STNM01は実施した動物試験において、顕著な毒性を示さず、臨床試験を開始する承認を取得した。そこで既存治療薬が十分な効果を示さないクローン病患者を対象として、極めて少数例に単回投与したところ、有効性を期待させる結果を得た。一方、今回の臨床試験では、STNM01投与との直接的な関連性を示す有害事象は認めなかった。

### ② 今後の展開

本開発では、極めて少数例の患者を対象として治験を実施したが、薬剤の有効性や安全性を最終的に判断するためには、さらに大きな規模の臨床試験の結果が必須である。そのため現在、共同開発を実施する企業への導出を視野に入れたアライアンス活動を展開中である。

## 3. 総合所見

治験準備と治験申請を行い、臨床試験を実施するとした事業化に向けた初期の2つの開発目標基準を達成できたと考える。薬剤の有効性や安全性を最終的に判断するためには、さらに大きな規模の臨床試験を実施して結果を見る必要がある。今回得た結果を材料にしてアライアンス活動を行い早期導出に至るよう、なお一層の努力を求めたい。

以上