

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 シーズ顕在化タイプ 事後評価報告書

研究開発課題名	: 新規な自閉症中核症状治療薬の創出
プロジェクトリーダー	: 帝人ファーマ(株)
所属機関	
研究責任者	: 山末英典(東京大学)

1. 研究開発の目的

自閉症スペクトラム障害は出現頻度が高いにもかかわらず、中核症状治療薬がないため、大きな社会問題となっている。自閉症スペクトラム障害中核症状の治療薬として開発する目的で、既存のオキシトシン経鼻製剤を用いた検討が報告されているが、薬剤投与に対する患者さんの負担が大きいなど服薬コンプライアンスが低く、実際の医薬品として開発／実用化していく上で大きな課題があった。そこで、製剤学的なアプローチと臨床的なアプローチにより、新規な自閉症中核症状治療薬の創出を目的として検討を実施した。

2. 研究開発の概要

①成果

製剤学的なアプローチとして、複数の剤形について製剤処方設計を検討した結果、既存製剤に対して薬剤投与の負担が少なく、服薬コンプライアンスに優れた製剤を得られる見通しを得た。また、臨床的なアプローチとして、既に実施している臨床試験の研究参加者への既存製剤の使用感に関する後方視的調査を行うことによって、新規製剤の有用性を確認した。これら製剤学的なアプローチと臨床的なアプローチにより、新規な自閉症中核症状治療薬の創出に向けて下記の目標を達成した。

研究開発目標	達成度
①既存製剤に対して薬剤投与の負担の少ない製剤の開発	①複数の剤形について製剤処方設計を検討した結果、既存製剤に対して薬剤投与の負担の少ない新規製剤を得る見通しを得た(達成度:100%)。
②患者さんにおける使用感の調査	②既に実施している臨床試験の研究参加者への既存製剤の使用感に関する後方視的調査を行うことによって、新規製剤の有用性を確認した(達成度:100%)。

②今後の展開

今回得られた成果をベースに、引き続き公的な研究開発支援制度(A-STEP 産学共同促進ステージ(ハイリスク挑戦タイプ))を活用し、医薬品としての開発／実用化に向けた研究開発を進めていきたいと考えており、出来る限り早期に、新規な自閉症中核症状治療薬の創出を実現したい。

3. 総合所見

薬剤投与に対する負担の大きかった先の製剤が改良され、動物実験での評価において目標通りの成果が得られ、イノベーション創出が期待される。

具体的かつ明確な今後の研究開発の方向性・計画が立てられている。自閉症症状に対する治療薬は未

開発であり、本剤の実用化によって自閉症中核症状の治療法が開始される意義は大きく、広い市場を獲得できる可能性がある。

また今後の研究開発において、本剤を用いた治療法の優位性を高めるための研究も計画されており、企業化における競争力を強めることが期待される。