

研究課題別事後評価結果

1. 研究課題名：ポリグルタミン病の包括的治療法の開発
2. 研究代表者名及び主たる研究参加者名(研究機関名・職名は研究参加期間終了時点):

研究代表者

貫名 信行 ((独)理化学研究所視床発生研究チーム 客員主管研究員/

順天堂大学大学院医学研究科 客員教授)

主たる共同研究者

永井 義隆 (国立精神・神経医療研究センター神経研究所 室長)

岡澤 均 (東京医科歯科大学難治疾患研究所 教授)

勝野 雅央 (名古屋大学大学院医学系研究科 准教授)

3. 事後評価結果

○総合評価コメント:

異常タンパク質の品質管理制御の破たんプロセスとしてのポリグルタミン病分子病態理解を進め、かつ、治療介入可能性を提示し、今後のトランスレーショナル研究に必要なツールの提供まで実行された。

研究は計画にほぼ即して進捗し、多くの研究成果をあげた。照準は治療法の開発であり、異常タンパク質分解制御によるポリグルタミン病発症遅延効果のある化合物の同定、抗ポリグルタミン凝集効果をもつ化合物の同定、臨床試験の準備、凝集阻害と分解の促進を連動させる治療法の開発、病態カスケードの転写障害、DNA 損傷修復をターゲットとした治療開発など治療法の開発につながる成果を得た。

一方、研究の過程で治療法以外の新たな研究成果も得られた。例えば、ポリグルタミン共通のバイオマーカーの開発、世界初の霊長類モデルの作製、線条体投射繊維が無髄繊維からなることを見出すなどである。

得られた研究成果のインパクトは大きく、これまでに多くの学術論文として成果を公表するのみならず、プレスリリースも積極的に行い、広く国民に情報発信する努力も怠らなかった。

本格的な創薬事業として展開するための基礎が築かれており、今後のサポート、ないしパートナーリングによって治療手段提供に至ることを期待させる成果である。

今後はいかにしてヒトを対象にした臨床研究につなぐことができるかである。