

事後評価報告書

開発実施企業：株式会社ニュージェン・ファーマ
代表研究者：北里大学 医学部 特任教授 池田 穰衛
研究開発課題名：抗神経炎症作用を標的とするALS用薬

1. 研究開発の目的

本新技術は、新規低分子化合物による筋萎縮性側索硬化症（ALS）治療薬に関するものである。ALSは原因不明の運動神経変性疾患で、根治療法は一切無く、有効な治療薬・治療法の開発が求められている。

本新技術では、新規アシルアミノイミダゾール化合物の生理活性として、酸化ストレスによる細胞死に対する選択的な抑制効果及び疾病発症しているALSマウスでの経口投与試験で顕著な運動機能保持と神経炎症抑制効果を確認し、ALS治療に繋がる可能性を見いだした。

ALSは難病指定疾患で、患者数が少なく、市場も限られており、新規治療薬開発には難しい現況にあるが、当該技術により患者とその家族の肉体的・精神的・経済的負担と医療保険費の軽減、生活の質の向上が期待できる。

2. 研究開発の概要

① 成果

本開発では候補化合物の合成方法を検討し、CMC基準に則したGLP仕様の原薬を製造、品質試験、安定性試験を実施してGLP試験評価に必要な治験薬GMP原薬の分析証明を取得した。それを用いた非臨床試験（ラット、サルによる毒性試験）で投与量を決定、医師主導によるヒトでの予備的第一相臨床試験により安全性と薬物動態を確認した。

一方、動物実験での最小薬効用量が極めて低いことから薬効分子機序を検討し、複数の活性化因子の存在を確認することができた。

② 今後の展開

創薬に向けて複数の製薬企業と技術導出の可能性を模索しているが、現状ではまだヒトでの薬効確認ができていないことから、新たな公的資金を用いて、本格的第一相～第二相臨床試験を実施してPOCを得ることを計画している。

3. 総合所見

具体的な技術導出交渉までには至っていないが、当初掲げた開発目標水準は達成したと言える。今後は今回得られた成果をもとに、製薬企業との提携交渉を進めつつ、本格的治験を行うための枠組み作りを進めることになるが、多大な資金が必要になることからハードルは高く楽観視はできない。

ALSで苦しむ患者にとって、経口投与で効果が期待できる新薬への期待は大きく、国際的共同治験計画の検討も始まっている。早期にヒトでの有効性を確認し、ALS治療薬の開発、承認につながることを期待する。

以上