

研究成果最適展開支援事業 (A-STEP) FS ステージ (シーズ顕在化) 事後評価報告書

プロジェクトリーダー (企業責任者) : 味の素製薬 (株)

研究責任者 : 東京大学 田中 廣壽

研究開発課題名 : 筋萎縮の診断法と治療法の開発

1. 研究開発の目的

筋萎縮への対策は高齢化社会における生活の質の維持向上に必須の国家的課題であるが、基礎的及び臨床的研究は立ち遅れており、有効な評価法や治療法も存在しないアンメットニーズである。本プロジェクトの申請者らは、ステロイドの副作用であるステロイド筋症をモデルとしてこの難題に取り組み、その本態が骨格筋における内分泌系と栄養センシング系のクロストークの破綻であることを証明した。その成果を基盤として新規の筋萎縮抑制療法を見出すとともに、予測診断法の開発にも取り組む。すなわち、本課題は申請者らの相互の強みを相乗的に活かして、筋萎縮の診断から治療に及ぶ包括的な産学連携研究により、新たな医療価値を創出することを目指すものである。

2. 研究開発の概要

①成果

筋萎縮研究やその治療法の開発研究がほとんど進んでいない現状を鑑み、本プロジェクトでは、最終的な目的達成に至る第一歩として、筋萎縮の原因が明確であるステロイドによる筋力低下 (ステロイド筋症) をモデルとして、その治療法の確立を目指した。まず、動物モデルにおいて治療薬候補物質による治療有効性を示すとともに分子メカニズムを明らかにした。その成果を学術論文にまとめ、「Cell Metabolism」誌に掲載の予定である。さらに、臨床における疫学調査研究を通じて、膠原病患者におけるステロイド治療にともなう筋力評価を実施し、高頻度にしゃがみ立ち不能などの筋力低下が認められることを確認した。今後の開発においては、筋萎縮の臨床的診断・評価項目の検討と治療薬候補物質の臨床効果を検証するステロイド服用患者を対象とした臨床試験を実施することが必要であると考えられた。

②今後の展開

事業化に期待を抱かせる基礎研究成果が得られたが、次の開発ステージへの進展に向かうためには課題も多いことが判明した。とくに、治療薬候補物質がステロイド本来の薬効や全身の代謝に与える影響などを緻密に解析する必要がある。かかる点は、治療薬候補物質のヒトにおける有効性の検証、筋萎縮の臨床評価法の意義とともに、臨床試験によって検証されるであろう。また、更なる臨床実態の把握と詳細な市場調査などによって事業性をより詳細に検討することも必要である。

3. 総合所見

概ね期待通りの成果が得られ、イノベーション創出が期待される。

基礎研究は極めて優れている。特に2つの系路 (ステロイド系と mTOR 系) のクロストークを分子レベルで示したことは、高い評価となる。

将来には病態の改善や治療に通ずる期待はあるが、道は遠いことの原因分析も出来ている。今後、対象とする疾患の輪郭を描き、臨床応用への道を明確にされたい。