

実施企業名:東亜合成株式会社

研究課題名:神経分化誘導ペプチド群による体性幹細胞からの神経分化誘導研究

## 1. 研究の概要

本研究では、神経難病問題(パーキンソン病、筋萎縮性側索硬化症、脊髄損傷、網膜色素変性症等)を根本的に解決するために、体性幹細胞(神経幹細胞、脂肪幹細胞、皮膚幹細胞、骨髄幹細胞等)から神経細胞へ確実に分化誘導させることができる SOCS/CIS 系 BC-BOX モチーフペプチド群の集合(改変体アナログを含む)から、最も神経分化誘導活性の高いペプチドの構造等を見出すとともに、当該ペプチド群により体性幹細胞から神経細胞に分化した細胞を、神経疾患実験動物の神経系へ移植して、真に神経細胞として機能するか、症状が改善するか等の神経機能評価を行い、革新的な神経分化誘導ペプチド薬剤を開発することを目的とする。

## 2. 研究目標の達成状況と実用化への展望

当初の研究目標に対し概ね期待通りの成果が得られ、実用化の可能性がある。

### 研究目標の達成状況

研究目標	達成状況
神経難病問題を解決するために、神経幹細胞等の体性幹細胞に対して神経分化誘導活性を有する SOCS/CIS 系 BC-BOX モチーフペプチド群及びそのアナログから神経分化誘導活性が 100%に近いものを見出すことを目標とする。	BC-BOX 構造を有するペプチドの中で、VHL 系タイプ及び SOCS 系タイプのものに優れた神経分化誘導活性があることを見出すとともに、その活性はペプチドによる転写因子 STAT3 の阻害などによるものであることを見出した。

### 採択企業における実用化への展望

今後は、神経分化誘導ペプチド薬剤をベースとした次世代型再生医療事業を目指して、別の企業と共同開発を実施するとしている。

### 3. 総合所見

#### (総合)

当初の研究目標に対して概ね期待通りの成果が得られ、実用化の可能性がある。

本研究では、体性幹細胞から神経細胞へ分化誘導させることができる神経分化誘導ペプチドの創出を目指した開発が行われた。その結果、神経分化誘導ペプチドが獲得され、in vivo においても一定の成果があげられた。当初の目標はほぼ達成されたと評価できる。研究期間中に発見された iPS 細胞への応用も検討がなされており、周囲の動向を捉えた研究開発が行われた点も評価できる。今後は、将来の実用化を目指して、基礎的な検討事項の確認及び更なる in vivo での実証試験が求められる。本技術の実現によって新しい医療技術が実現する可能性もあるため、今後の発展が期待される。

#### (詳細)

in vitro において神経分化誘導活性を有する神経分化誘導ペプチドを 5 種類創出すると共に、in vivo において、神経分化誘導ペプチドの一定の有効性が確認された。当初の研究目標は概ね達成されたと評価できる。また、研究目標外ではあるが、研究期間中に発見された iPS 細胞への応用も検討されている点も評価できる。

本研究の基本特許は研究期間前に出願されており、本研究期間中に 1 件の特許出願が行われた。研究終了直後にも多数の特許が出願されていることから、競合技術との知的財産権の抵触については問題ないと判断される。今後とも適切に知的財産戦略を進めてもらいたい。

本研究で得られた成果により、本技術の実用化の可能性は高まったと評価されるが、膜透過ペプチドとの組み合わせの最適化などの基礎的な検討や、in vivo における実証試験を着実に進めていくことが求められる。将来の事業展開を見据えて、他社との共同研究が開始されている点も評価できる。将来の実用化に向けた着実な取り組みを期待する。

体性幹細胞から神経細胞分化を誘導できるペプチドの開発は、様々な神経性疾患に対する新たな治療薬として期待でき、同様な機能性ペプチドの開発から新産業創出は充分期待できると考えられる。また、iPS 細胞の分化にも有用との知見が得られていることから、今後、医薬品だけでなく、再生医療用としての開発も進むと考えられる。将来の社会性・市場性が大きく期待できる技術であるため、今後の進展を期待したい。