

# 精神・神経分野の難病の克服に向けた医薬品・医療機器の開発

樋口輝彦(国立精神・神経センター;NCNP)

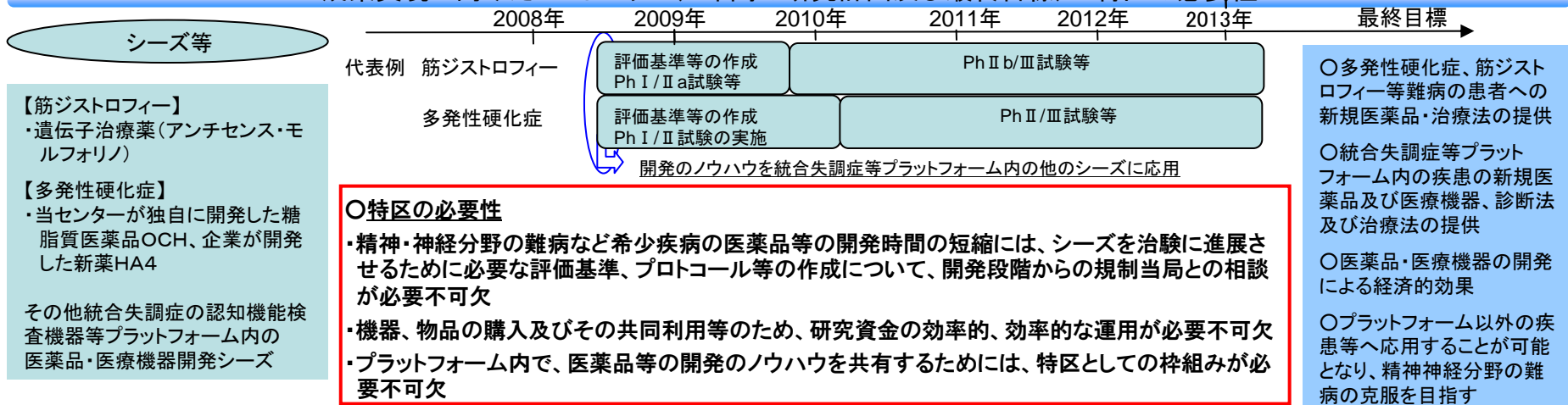
## 事業の概要

- 難病等精神神経疾患 医療技術開発プラットフォームとして、6分野の複合体を形成し、難病について画期的な医薬品・医療機器の開発を一層促進
- 規制当局との開発段階からの相談により、治験に必要な不可欠な安全性、有効性に係る評価基準を作成し、当該品目の開発時間の短縮を図る
- 実用化研究が先行している筋ジストロフィーの遺伝子治療薬及び多発性硬化症の糖脂質医薬品の開発を進め、そのノウハウを統合失調症等プラットフォーム内の他分野に応用し、開発時間の劇的な短縮を図る。
- 機器、物品の購入等に係る研究費の効率的、効果的な運用を図る。
- 将来的には、プラットフォーム内の疾患に限らず、精神・神経分野の難病に対して、総合的な開発を図り、当該分野の難病の克服を目指す。

## 目指す成果の社会的意義・有用性

- 精神・神経分野の難病の克服に向けた医薬品・医療機器の開発は、希少疾病等のため企業等の積極的な開発が困難であり、国が実施すべき事業
- 筋ジストロフィー、多発性硬化症等神経難病に対する新規画期的な治療法を患者に提供し、孤発性神経難病の根本治療を実現
- 統合失調症患者の早期診断、発症予防を促進
- 痙縮、難治性の気分障害(うつ病)患者の社会復帰、ADLの促進、睡眠障害の医療を画期的に向上
- これらの医薬品・医療機器の製品化による経済の活性化、医療費の削減、自殺予防、眠気による産業事故の防止等による社会的損失の軽減等の経済効果も期待、さらには他の精神神経疾患の難病に応用し、これらの疾患を克服

## 成果実現に向けたロードマップ(5年間の研究計画及び最終目標)／特区の必要性



## 基盤となる特許・シーズ等の強さ(独創性・国際競争力等)

- 【筋ジストロフィー】
  - 当センターが独自に開発した筋ジストロフィーの遺伝子治療薬 アンチセンス・モルフォリンによる遺伝子読み取り修正方法は、世界に類を見ない画期的な方法であり、世界で最も優れた筋ジストロフィー犬のコロニーを利用して、治療法のPOC (Proof of Concept) を提出したと評価されている。
- 【多発性硬化症】
  - 糖脂質医薬品OCHの特許は、関連化合物を網羅する強力な物質特許で、欧、豪、カナダ等で特許が既に成立している。国内外から、製品開発への期待が高い。また、従来のMS治療薬はすべて注射薬でコンプライアンスに問題があったが、OCHIは経口薬剤で、製品化された際には、高い国際競争力が期待できる。

## 研究体制

- 【筋ジストロフィー】
    - NCNP: ・筋ジストロフィーによる前臨床試験の実施
      - ・患者遺伝子レジストリーの構築
      - ・治験の推進
    - 米・国立小児医療センター
    - ノース・カロライナ大学: ・新たな導入法の開発
    - 東工大: ・新たな核酸医薬品の開発
    - 熊本大、東京女子医大: ・治験の推進
    - AVI Biopharma他: ・薬物の製造、提供等
  - 【多発性硬化症】
    - NCNP:
      - ・動物モデルにおける有効性検証
      - ・患者血液・髄液検体を用いた作用機序解析
    - ハーバード大、マックスプランク研究所:
      - ・糖脂質医薬の評価
      - ・試薬供与と基礎研究
    - 北大: ・新規治療薬の作用機序評価
    - アスピオファーマ、糖質科学:
      - ・OCHとHA4の製造、提供
- 統合失調症等  
その他  
プラットフォーム内の  
精神・神経疾患

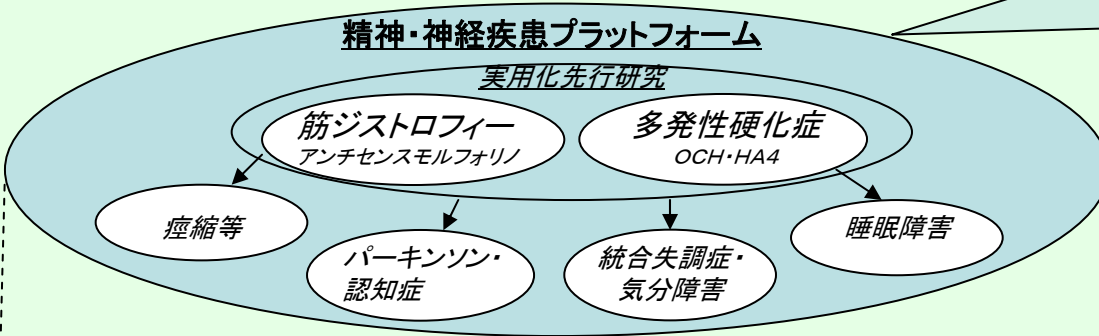
# 精神・神経分野の難病の克服に向けた医薬品・医療機器の開発(イメージ)

## 研究の概要

・本プラットフォームでは、実用化に向けて先行している筋ジストロフィーの遺伝子治療薬(アンチセンスモルフォリン)及び多発性硬化症(MS)の糖脂質医薬品OCH、新規医薬品HA4の医薬品の開発を進め、そのノウハウを他の分野の研究開発に応用し、プラットフォーム全体としての医薬品等の開発を促進させる。

・また、プラットフォームを形成している疾患以外の分野、対象についても、将来的にそのノウハウを提供し、精神・神経分野の難病に係る医薬品等の開発を促進させる。

## スーパー特区



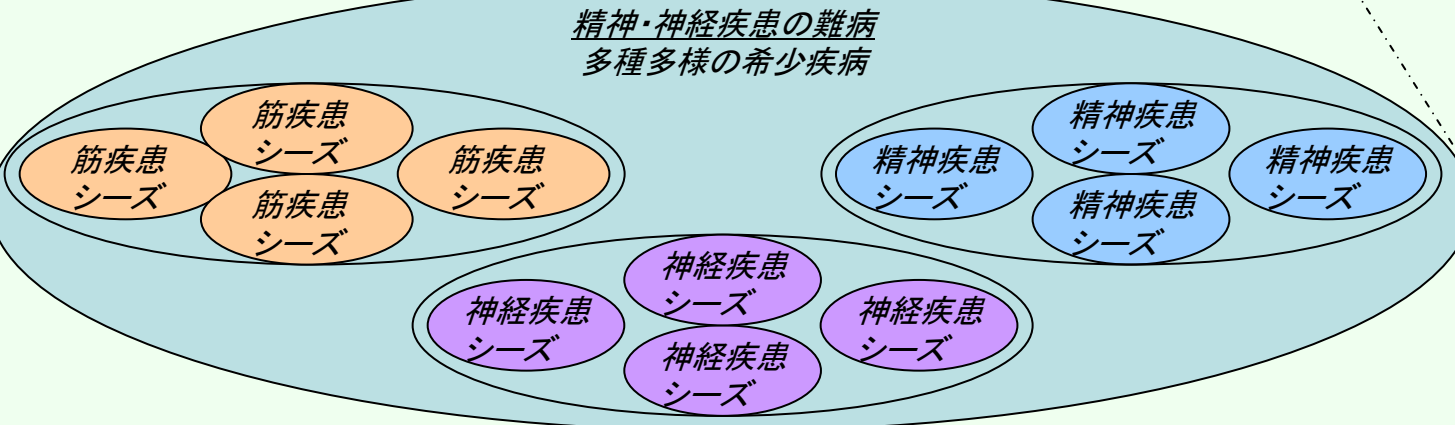
- 安全性・有効性に係る評価基準の共有
- 機器等の共同活用
- 研究開発技術の共有化
- 研究開発支援の共同活用
- 研究費活用手法の共有化
- 知財管理に係る手法の共有

・NCNP医療クラスター  
・トランスレーショナル  
メディカルセンター  
・治験ネットワーク の活用

日本発・日本  
主導の医薬品  
等の効率的な  
開発

(開発時間の  
短縮、開発手  
法の効率的な  
活用)

## 将来像 開発手法等その他疾患への応用



医薬品・医療機  
器の開発、治療  
法の提供による  
精神・神経分野  
の難病の克服