

NCNPにおける橋渡し研究について（エクソン・スキップ治療法の開発）

神経研究所：
基盤的研究成果を
世界に発信

筋ジストロフィーを対象にしたエクソン6/8スキップの効果と安全性検証

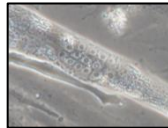
- ・ジストロフィンの発現
- ・運動機能の維持
- ・血清CK値の低下
- ・明らかな毒性なし
- ・修飾核酸による導入効率向上

(Ann Neurol. 2009) (Nucleic Acid Ther. 2012)

筋ジストロフィーを対象にしたエクソン51スキップの効果と安全性検証

- ・ジストロフィンの発現
- ・血清クレアチン・キナーゼ値の低下
- ・筋張力・握力の改善
- ・明らかな毒性なし

(Mol Ther. 2010) (PNAS. 2012)
(Hum Mol Genet. 2013)(Nano Lett. 2015)



患者由来細胞を対象にしたエクソン・スキップ効果検定系の確立

- ・皮膚線維芽細胞を用いた評価系構築
- ・イヌで有効な配列をヒト細胞へ応用
- ・ジストロフィンの発現

(PLoS One. 2010)

トランスレーショナル・メディカルセンター：

橋渡し支援

病院：
医師主導治験の実施

平成25~27年 デュシェンヌ型筋ジストロフィーを対象にした**エクソン53スキップ薬** (NS-065/NCNP-01) の**医師主導治験** (早期探索的臨床試験) を実施



- ・NCNPと日本新薬株式会社が共同開発
- ・国産で初めてのモルフォリノで合成された核酸医薬品
- ・モルフォリノ核酸によるエクソン53スキップ薬としては世界初
- ・本薬は平成27年10月に先駆け審査指定制度の対象品目に指定

企業治験の実施

平成28年～ 日本新薬株式会社による **第 I / II 相臨床試験** が開始

NCNPが一体となって疾患克服のための新規治療法開発を実施