

科学研究費助成事業（基盤研究（S））研究進捗評価

課題番号	21229002	研究期間	平成21年度～平成25年度
研究課題名	インテリジェント人工核酸を搭載したナノDDSによる革新的分子標的治療薬の研究	研究代表者 (所属・職) (平成26年3月現在)	佐々木 茂貴 (九州大学・大学院薬学研究院・教授)

【平成24年度 研究進捗評価結果】

評価	評価基準
A+	当初目標を超える研究の進展があり、期待以上の成果が見込まれる
○ A	当初目標に向けて順調に研究が進展しており、期待どおりの成果が見込まれる
A-	当初目標に向けて概ね順調に研究が進展しており、一定の成果が見込まれるが、一部に遅れ等が認められるため、今後努力が必要である
B	当初目標に対して研究が遅れており、今後一層の努力が必要である
C	当初目標より研究が遅れ、研究成果が見込まれないため、研究経費の減額又は研究の中止が適当である

(意見等)

本研究は、化学修飾によって付加的な機能を導入したオリゴヌクレオチドをデザインし、合成した、輸送担体との複合体として疾患モデル動物に投与して、効果を検証することを目的とする協奏的研究である。特に研究代表者のグループの研究の進捗は著しく、新しい手法が開発され、得られた新規化合物は生物活性を示した。人工核酸に組み込む予定のアポトーシス抑制物質の開発も進捗している。

一方、*in vivo* における活性の評価については、当初予定した形での糖尿病モデルマウスの開発に遅れが見られる等若干の問題があるが、研究者間の連携を密にして取り組むことにより、研究期間中に当初の目標が達成できると見込まれる。

【平成26年度 検証結果】

検証結果	研究進捗評価結果で見込まれたとおりの研究成果が達成された。
A/F	機能性人工核酸の分野においては、miRNA を標的として独創的な方法論を駆使し研究を展開しており、また、DNA/RNA 標的の新規化学反応性分子の開発においても当初の予定どおりの成果を上げている。核酸医薬の DDS に関する研究において、ミトコンドリアや膵β細胞への送達が達成された事は特筆すべきである。平成24年度研究進捗評価の際に指摘されている糖尿病治療研究の遅れについても今回の報告において十分な進展が認められた。
	特記事項：上記の学術的な評価とは別に、本研究課題において研究分担者による研究費の不正使用が行われていたことが明らかになった。研究分担者によるものとはいえ、本研究課題において、研究費の不正使用が行われたことは、誠に遺憾である。不正に使用された研究費はすでに返還され、不正使用を行った研究分担者の応募資格を一定期間停止したが、研究分担者は猛省し、今後、このようなことが絶対に生じないよう、姿勢を正していただきたい。