

報道関係各位
2026年3月3日

神経難病研究センター・石垣診祐教授の提案課題が「JST「大学発新産業創出基金事業 ディープテック・スタートアップ国際展開プログラム (D-Global)」に採択されました

【ポイント】

- 根本治療法が存在しない進行性核上性麻痺(PSP)などの難病「4R タウオパチー」に対し、原因となるタウタンパク質の異常を正常化する画期的な核酸医薬「NK-18」の実用化を目指します。
- カニクイザルを用いた国内随一の研究基盤を活用し、ヒトへの効果予測を可能にする非臨床データの取得と、血液中の細胞外小胞を用いた最新のコンパニオンバイオマーカー開発を同時に推進します。
- 本プログラムの支援のもと 2028 年度にスタートアップを設立し、早期の臨床試験(FIH)開始と大手製薬企業への導出によるグローバル展開を図ります。

【概要】

本学の神経難病研究センター石垣診祐教授が提案した課題「持続性に優れた核酸医薬を用いた 4R タウオパチーの疾患修飾薬開発」が、国立研究開発法人科学技術振興機構(JST)の「大学発新産業創出基金事業 ディープテック・スタートアップ国際展開プログラム(D-Global)」に採択されました。

本プログラムは、大学等発の技術シーズを核にして、社会・経済に大きなインパクトを生み、国際展開を含め大きく事業成長するポテンシャルのあるディープテック・スタートアップの創出を目的としています。この目的を達成するため、技術シーズの事業開発に責任を有する事業化推進機関および研究開発に責任を有する研究代表者が共同代表者となり、事業化推進機関のプロジェクトマネジメントのもとに事業化マイルストーンおよび研究開発マイルストーンを設定し、両者が一体的に課題を推進します。石垣教授は、神経変性疾患の進行を抑制する「疾患修飾薬」として有効な人工核酸「NK-18」を開発し、神経変性疾患の治療法確立するための国際展開を図るスタートアップの設立を目指すことを提案し、書類選考およびヒアリング審査の結果、第 4 回公募の採択課題の一つに選ばれました。本事業では、事業化推進機関としてベンチャーキャピタル RDiscovery 株式会社のプロジェクトマネジメントのもと、人工核酸の非臨床 POC の獲得と臨床 POC 構築までを担い、神経変性疾患の治療法確立を実現する創薬スタートアップの設立を目指します。

なお、本事業は、契約などの条件が整い次第、研究開発を開始する予定です。

【研究内容】

進行性核上性麻痺(PSP)や前頭側頭葉変性症(FTLD)などに代表される「4R タウオパチー」は、脳内に 4R タウ^{*1}というタンパク質が異常蓄積することで神経細胞が脱落する難治性の神経変性疾患です。発症から 5 年以内に臥床状態となり、平均余命も 10 年未満と極めて予後が不良であるにもかかわらず、これまで根本治療法は存在せず、対症療法に頼るしかない状況が続いています。

現在、世界中でタウを標的とした新薬開発が進められていますが、その多くはタウ全体の発現を抑制するものであり、依存症や肥満といった副作用のリスクが懸念されています。本プロジェクトで開発する ENA 修飾核酸医薬^{※2}「NK-18」は、タウ全体の量を減らすのではなく、「異常な 4R タウの生成を抑え、正常なバランス(4R/3R 比)に戻す」という独自の作用機序を持ちます。さらに、マウスの髄腔内へ単回投与した実験では、脳内で約 6 ヶ月という極めて長い半減期を示し、最大 2 年にわたって薬効が持続するなど、優れた効果と高い持続性が確認されています。

【今後の展望】

本プログラムの支援を通じて、NK-18 の First-in-Human(FIH:ヒト初回投与)臨床試験に向けた準備を加速させます。具体的には、外部の受託研究機関(CRO)での GLP 準拠の非臨床安全性試験や、GMP 準拠の治験薬製造準備を進めます。さらに、これまでは困難であった「血液からのタウアイソフォーム定量」を可能にする新たなバイオマーカーの開発を並行して行い、臨床試験における患者の層別化や効果判定の精度を飛躍的に高めます。

2028 年度には、治験届の提出とともに本成果の社会実装を担うスタートアップを設立する予定です。大手製薬企業と連携し、国際共同治験やライセンスアウトを見据えたグローバル展開を進めることで、世界中の 4R タウオパチー患者さんに一日でも早く画期的な根本治療薬を届けることを目指します。

【用語解説】

※1 4R タウ: 神経細胞の骨組みを維持する「タウタンパク質」のうち、特定の構造(4 リピート)を持つもの。健康な脳では適度なバランスで存在しているが、これが過剰に蓄積することが特定の難病(4R タウオパチー)の原因となる。

※2 ENA 修飾核酸医薬: 日本で創出された人工核酸(人工的に合成した DNA/RNA)技術。従来の核酸医薬に比べ、標的となる RNA との結合力が非常に強く、生体内での安定性(持続性)に極めて優れているのが特徴。

<研究に関するお問い合わせ先>

滋賀医科大学 神経難病研究センター
(センター長・教授) 石垣 診祐(いしがき しんすけ)
TEL:077-548-2330
E-mail: shinsuke@belle.shiga-med.ac.jp

<報道に関するお問い合わせ先>

国立大学法人滋賀医科大学 総務企画課広報係
TEL:077-548-2012
E-mail:hqkouhou@belle.shiga-med.ac.jp