

厚生労働科学研究費補助金
(難治性疾患等克服研究事業 (難治性疾患克服研究事業))

【総括研究報告書】

「重症肺高血圧症の予後と生活の質を改善するための安心安全のナノ医療製剤(希少疾病用医薬品)の実用化臨床試験」(H24 - 難治等(難) - 一般 - 009)

主任研究者 江頭 健輔
(九州大学大学院医学研究院 循環器病先端医療研究開発学 教授)

1. 研究の要約(概要)

【研究の必要性、背景】

重症肺高血圧症は QOL の悪化をもたらす予後不良の希少難治性疾患である。現行の治療薬の有効性は限定的であり、より低侵襲かつ効果的で安全安心な医薬品の実用化が強く求められている。

また、ナノ Drug Delivery System (DDS) を活用した日本発の革新的な医薬品・医療機器開発は「新成長戦略 2009」のライフイノベーションによる健康大国戦略の優先施策である。

申請者らは、ナノ医工薬学融合技術に基づいて重症肺高血圧症の治療に有効なナノ DDS を開発した。HMG-CoA 還元酵素阻害薬(スタチン)の血管保護作用に注目して研究し、ピタバスタチン封入ナノ粒子(ピタバ NP)製剤の気管内投与、あるいは静脈内投与によって肺高血圧症モデルや急性肺傷害モデル、慢性閉塞性肺疾患モデルの病態が著明に改善することを明らかにした(Egashira K et al. Hypertension 2011 など)。

その成果を基盤にピタバ NP の GLP 基準での安全性試験を実施し、治験薬 GMP 製造を確立した。

【目的】

本研究の目的は重症肺高血圧症の予後と Quality of Life (QOL) を改善する低侵襲かつ安全・安心なピタバ NP 製剤を希少疾病用医薬品として実用化(国内での薬事承認を最終目標)するための臨床試験を行い、Proof of Concept (POC) を取得することである。

【研究計画・方法】

- (1) ピタバ NP 注射製剤を用いた第 I 相試験(治験)(単回静脈内投与試験、反復投与試験)
- (2) POC 取得のための探索的第 II 相試験の準備
- (3) ピタバ NP 吸入投与の治験を実施するための非臨床試験(製剤の最適化と安全性試験)

【独創性、特色など】

ピタバ NP が示す格段に優れた治療効果と低副作用の医薬品はこれまでに全く無いことから、独創性が極めて高い。ピタバ NP の国内外特許は各国で登録されつつある（国内特許登録、欧州特許登録、米国特許審査中、中国特許登録、その他は審査中）。

本研究は、先端医療開発スーパー特区の研究課題であり、九州大学に設備された分子イメージングシステムを活用することから、分子細胞病態の解析とナノ治療の効果を評価できるので、格段に優れた成果が期待できる。

図1 実用化に向けた橋渡し研究の推進体制

