「光スイッチ医療創出」プロジェクト

終了評価報告書

日　時: 令和8年9月9日(水) 14:00 ～ 16:00

場　所: かながわサイエンスパーク西棟 702 会議室、オンライン

委　員: 井上　貴雄　国立医薬品食品衛生研究所　遺伝子医薬部　部長
小西　　敦　味の素株式会社 R&B 企画部バイオ・ファインテックグループ
都築　博彦　ツヅキ・アンド・アソシエイツ
戸田　正博　慶應義塾大学医学部　脳神経外科　教授

報告者: 佐藤　守俊　「光スイッチ医療創出」プロジェクト　プロジェクトリーダー

上記の日時場所において評価委員会を開催し、事前に提出された本研究プロジェクトに関する報告書などを踏まえ、プロジェクトリーダーによる成果報告と自己評価説明、ならびに事務局より特許および決算状況の説明を受け、その内容に関連した質疑応答を行った。これらをもとに委員の間で評価に関する意見交換を行い、結果を以下に取りまとめた。

【総評】

本研究プロジェクトは、光操作に基づく遺伝子医薬の開発、光操作に基づく細胞医薬の開発、光操作に基づく抗体医薬の基盤技術の開発を進めており、小動物、細胞による検討から医療応用の可能性を見いだした。光操作に用いる光源を生体透過性が高くなる赤色光、近赤外光と広げており、生物や細胞を対象とするうえで大きく広がっている。また、光操作により遺伝子工学的に分割したタンパク・フラグメントの結合を誘発するシステムでは、機能発現のために必要な結合とは別の部位で結合させることで、希薄な系での光操作を可能としており、医療への技術応用における対象分野を広げている。さらに、技術展開として光スイッチによる物質生産プラットフォームの開発も進めており、当該技術の特徴を活かした物質生産プロセスを考案し、起業したベンチャーと連携を行っている。プロジェクトで得た成果を多くの学会、論文で発表し、国内外での特許出願も進めている。以上より、研究計画で設定した目標は達成している。

一方、光スイッチを組み込んだ新たなモダリティの医療応用の可能性拡大についてのみ重きが置かれており、臨床のアンメットニーズに対して、光スイッチがどのように既存モダリティと違って応えることができているのかが、示されていない。光スイッチが最も良く臨床アンメットニーズに応え、患者に利益を与えると予想される開発対象に絞り、その上でリスク/ベネフィットを明確化して実用性を考察すべきである。また、薬事視点から予測される安全性や生産性、コストといった実用化に向けた進捗が乏しいことから、開発している技術の社会実装のスケジュールが見通せない。開発対象・適用疾患によって、本技術に要求されるスペック（例えば、非光照射時のタンパクの機能発現量等）が異なってくることから、KISTEC の支援によって臨床ニーズ、パートナーとなりうる製薬メーカー等のニーズを収集し、的確な対象疾患を早期に決定すべきである。その上で、医薬品を目指す非臨床開発における早い段階から TPP（Target Product Profile）を作成して、開発の意義を客観的に考察していただきたい。基盤技術の経済的価値を高めるには知的財産戦

略が重要であり、特許出願戦略並びに戦術が必要であるばかりでなく、物質生産細胞などでは囲い込むことにより特許に頼らない戦略を取ることが多い。KISTEC の支援により、技術の将来価値を高めるために多面的に考察して開発戦略を立案することを期待する。

【各論】

1．研究成果：光照射によるタンパク機能発現の向上、生体組織透過性の高い長波長の光スイッチの創製、分割したタンパク・フラグメントの機能発現しない部位で連結して希薄系への展開など、本技術の有用性や一般性を高める基盤技術の開発研究で優れた業績を挙げている。また、それら技術を小動物、細胞に適応し、生体内で機能させる医療応用の可能性を見いだした。また、微生物のタンパクへの光操作を応用することで、バイオプロセスによる物質生産を向上させる技術への展開を進めた。これらの検討を活用した光スイッチ医薬の開発においても、従来技術の機能拡張や課題解消を目的とした研究を行い、マウス体内での有効性を実証するなど、実装に向けた取り組みも行っている。また、微生物の遺伝子発現を光スイッチ操作による代謝制御に応用して効率的な物質生産を可能とするプロセスの開発など、本技術の波及効果と可能性を実証している。

2．研究の方向性：現状は、「光スイッチが in vivo でも作動する」という仮説の検証に留まっている。そうではなく、光スイッチを組み込むという特性が、臨床のアンメットニーズに最も応えると想定される対象及びその適用疾患の妥当性を示し、そうした疾患のモデルにおいて既存モダリティに対する優位性を示す必要がある。さらに、活用するタンパク等の安全性、社会実装に重要となる知的財産における FTO の確認、生産コストの予測等も検討していただきたい。採択されている次期ステージでは、上記項目が重要であり、TPP 等を活用した開発計画の妥当性を検証する必要がある。特に、臨床ニーズから的確な対象疾患を選択することと安全性を確保する道筋は重要であることから、早期に戦略・戦術を練る必要がある。

3．研究費および人員体制について：これまでの研究では妥当と考える。今後は、社会実装を目指すことが重要であり、KISTEC として、技術を事業視点でリードできる適切なサポート人材の確保、外部機関の協力等の施策が必要である。適切な対象疾患に対する技術開発シナリオを設定し、そのシナリオに沿って開発する体制が必要である。

令和８年 10 月１日

委員長　都築　博彦