

酵母による糖タンパク質医薬の生産系の開発

(研究期間：平成 13 年～ 17 年)

任期付研究員：千葉 靖典 (独立行政法人産業技術総合研究所)

総 評 (研究を継続すべき：優れた成果が期待できる)

本研究は、ハイマンノース型及びその類似構造であるマンノース-6-リン酸型糖鎖、さらにはヒト複合型・混成型を生産する酵母の作出を行い、モデル糖タンパク質酵素の生産と機能評価を行い、有用医薬品の安価な生産系を確立することを目指すものである。

本研究においては、糖鎖モデリングの基礎的研究をもとにして、ファブリー病治療薬である医療用糖タンパク質の生産系を構築しつつあり、その科学的・技術的な価値は概ね高いと評価できる。今後、本研究成果が医薬品として応用され、さらにこの技術がファブリー病のみならず他のリソソーム病治療薬への応用へと発展する可能性もあることから、科学的・技術的な面のみならず社会的な面での波及効果も十分に期待できる。

また、研究成果の情報発信については、これまでに特許申請や論文発表など概ね行われているが、本研究テーマは実用化を指向すべきものであるため、今後、より一層積極的な情報発信が期待される。

研究計画については明瞭に設計されており、病体マウスへの投与実験に一部遅れが見られるものの、大量生産につながる高分泌型酵母への系の移植など、これまでの研究は概ね順調に進捗しているものと評価できる。また、必要に応じて他の研究者とも議論しながら十分自立して効率的に研究が展開されているものと評価できる。

一方、所属機関においては積極的に任期制が導入されており、新規採用を任期付きで行うなど、任期制の定着への効果は概ねあると評価できる。また、任期付研究員に対する所属機関の支援については、予算配分、十分な研究スペース、事務処理等について、任期付研究員が研究に専念できるよう必要な支援が行われていると判断できる。

以上により、これまでの本研究を総合的に判断すると、得られた成果の早急な実用化とその波及効果が見込まれることから、今後の更なる発展を期待しつつ、優れた成果が期待できる研究であると評価できる。

< 総合評価： b >

今後は、この手法を応用したヒト型糖タンパク質の大量生産により、ファブリー病のみならず他のリソソーム病への応用へ発展させるべく、研究を継続するべきである。

< 今後の進め方： a >

評価結果

| 総合評価 | 今後の進め方 | 目標達成度 | 研究成果 | | | | 研究計画 | 研究者の自立性 | 任期制の定着への効果 | 所属機関の支援 |
|------|--------|-------|-----------|-------------|-------------|------|------|---------|------------|---------|
| | | | 科学的・技術的価値 | 科学的・技術的波及効果 | 社会的・経済的波及効果 | 情報発信 | | | | |
| b | a | b | b | a | a | b | a | a | b | b |