

[PRESS RELEASE]

2017年10月17日  
埼玉医科大学  
ゲノム医学研究センター

**進行性骨化性線維異形成症(FOP)治療薬の医療研究開発革新基盤創成事業への採択  
及び産学官連携の研究開発開始について**

1. 本年8月1日に埼玉医科大学(埼玉県毛呂山町、以下「本学」)と第一三共株式会社(本社:東京都中央区)の共同で開発を進めている進行性骨化性線維異形成症\*1(以下「FOP」)に対する革新的治療薬の創出が、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)の医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)に採択された。
2. これを受け、今般、産学官連携の研究開発を開始した。
3. 今後は、CiCLE事業からの支援をもとに、第一三共株式会社との共同研究により、FOPの革新的治療薬の創出に向けた研究開発に一層注力する。

**【概要】**

FOPは、筋肉や腱などの軟部組織において、本来は形成されない骨組織が形成される、進行性かつ重篤な疾患で、世界的には人口200万人に対して1人程度の割合で発症することが知られており、我が国の指定難病の1つです。本学ゲノム医学研究センター(埼玉県日高市)の片桐岳信教授らのグループは、2005年からFOPの発症機序の解明および治療法の確立を目指した研究に取り組んでいます。本年8月1日に本学と第一三共株式会社が共同で研究開発を進めているFOPに対する革新的治療薬の創出が、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)の医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)に採択されたことを受け、今般、産学官連携の研究開発を開始しましたので、お知らせいたします。

本学と第一三共株式会社が共同研究により見出したFOP治療薬は、ALK2に対する抗体医薬(ヒト化モノクローナル抗体)であり、FOPにおいて異常亢進しているALK2シグナルを特異的に阻害することで、骨化を抑制することが期待されています。

今後は、CiCLE事業からの支援をもとに、第一三共株式会社との共同研究により、FOPの革新的治療薬の早期創出に向けた研究開発に向け一層注力してまいります。

以上

#### **\*1 進行性骨化性線維異形成症(FOP)について**

FOP は骨格筋や腱、靭帯など、通常は骨組織が形成されない軟部組織において骨組織が形成される(これを異所性骨化という)遺伝性疾患です。本疾患では、異所性骨化が顔面を含む全身で起こり、異所性骨組織と既存の骨組織が癒合してしまうことにより、身体の変形や関節の可動域の著しい低下を生じます。FOPの原因は、骨形成を司る BMP シグナル受容体の1つである ALK2 遺伝子の変異であり、片桐教授らは変異により活性化した ALK2 が、過剰な骨形成シグナルを伝達することで異所性骨化が起こることを報告してきました。これまでのところ、FOP の異所性骨化を抑制する薬剤や、既に形成された異所性骨を除去する方法は確立されておらず、有効な治療薬が切望されています。

#### **\*2 医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)について**

2017 年度から AMED が実施する CiCLE は、産学官連携により、我が国の力を結集し、医療現場ニーズに的確に対応する医薬品・医療機器・医療技術などの実用化の加速化、医療研究開発分野でのオープンイノベーション・ベンチャー育成が強力に促進される環境の創出を推進することなどを目的としており、対象を特定の分野に限定せず、基礎的な研究段階から臨床試験等を含む実用化の開発段階までの幅広い案件に対応している新しい事業です。

---

#### **《本件に関するお問合せ先》**

埼玉医科大学ゲノム医学研究センター

病態生理部門

部門長・教授 片桐 岳信 (かたぎり たけのぶ)

E-mail : katagiri@saitama-med. ac. jp

電話 : 042-984-4412 (代表)