

(別紙1)

## 総括研究報告書

課題番号	2022B-2						
研究開発課題名	小児疾患を対象としたAIを活用した治療用タンパク質の設計パイプラインの構築						
分類*	<input type="checkbox"/> ①	<input checked="" type="checkbox"/> ②	<input type="checkbox"/> ③	<input type="checkbox"/> ④	<input type="checkbox"/> ⑤	<input type="checkbox"/> ⑥	<input type="checkbox"/> ⑦
区分	<input type="checkbox"/> A	<input checked="" type="checkbox"/> B	<input type="checkbox"/> C	<input type="checkbox"/> E	<input type="checkbox"/> S		
主任研究者	所属	研究所細胞医療研究部					
	役職	専門職					
	氏名	da Silva Lopes Tiago Jose					
実施期間	2023年4月1日		～	2023年8月31日			

※分類は下記①～⑦より選択

- ① 日本の成育分野の疾患の研究の基盤となる研究
- ② 診断、治療及び予防法の開発に関する研究
- ③ 発症機序や病態の解明等を行う研究
- ④ 診断や治療のための基準の開発等に関する研究
- ⑤ 患児・者のQOL向上に結びつく研究
- ⑥ 研究的視点や技術をもつ医療従事者を育てるための研究  
(プロトコル作成のフェージビリティ研究)
- ⑦ 政策提言に結びつく研究

### 成果の概要

国際的な研究者ネットワークを構築し、この協力体制のもと、血友病 A 治療における有効性を予測する高度な AI アルゴリズムを設計し、10 万以上の治療薬候補タンパク質を約 180 に絞り込むことができた。候補タンパク質は現在、自治医科大学の大森司教授のチームの指導の下、*in vitro* 試験を行っており、タンパク質の有効性を評価し、潜在的な治療効果について検討している。これらのタンパク質を合成するために無細胞発現法という革新的な技術を取り入れた。大腸菌のような細菌培養を伴う従来の方法とは異なり、無細胞発現法より迅速で負担が少ないため、試験用のタンパク質を迅速に合成することが可能となった。

AI と最先端のバイオテクノロジーを組み合わせた学際的なアプローチにより、血友病 A に対する理解が深まっただけでなく、幅広い希少血液疾患に対しても貢献することができた。