

シンポジウム | イノベーション共創プログラム (CIP) : バイオ医薬品の最前線を支えるスマートケミストリー

📅 2025年3月26日(水) 15:55 ~ 16:55 📍 [E]F402(第2学舎 4号館 [4階] F402)

[[E]F402-1vn] バイオ医薬品の最前線を支えるスマートケミストリー

座長、シンポジウム関係者：長崎 健、田中 賢

低分子医薬品では満たされなかったニーズを満たす新時代の医薬品として期待される。抗体医薬や核酸医薬として細胞などのバイオ医薬品の新薬市場が近年急増している。今回は、抗体医薬・ADC、核酸医薬に加え、昨年度のアナライズで要望の多かったゲノム編集やmRNA医薬に関する講演も盛り込みました。本セッションでは、これらバイオ医薬品の開発・生産を支える先端材料や技術に関する化学とバイオ医薬品の安全性評価や社会実装に関して議論します。

本セッションは午前、午後、夕刻に実施されます。聴講後の[アンケート](#)へのご協力をお願いいたします。

🗣️ 日本語 🗣️ 基調講演

15:55 ~ 16:50

[[E]F402-1vn-01]

核酸医薬およびmRNA医薬の開発動向と品質・安全性確保に関する取り組み

○井上 貴雄¹ (1. 国立医薬品食品衛生研究所)

16:50 ~ 16:55

閉会挨拶

核酸医薬および mRNA 医薬の開発動向と品質・安全性確保に関する取り組み

(国立衛研¹) ○井上 貴雄¹

Research for regulatory development of oligonucleotide therapeutics and mRNA-based therapeutics (¹*National Institute of Health Sciences*) ○Takao Inoue¹

In recent years, clinical development and use of oligonucleotide therapeutics, as typified by antisense oligonucleotides and siRNA, has been advancing rapidly, attracting attention as a new modality for genetic and intractable diseases for which there have been few treatment options. In addition, the development of COVID-19 vaccines has brought the medical application of mRNA into the limelight, and it is now recognized as a next-generation modality. Oligonucleotide therapeutics and mRNA-based therapeutics are characterized by their ability to control the physiological and pathological functions of the body at the level of RNA. In this presentation, I will outline the development trends of oligonucleotide therapeutics and mRNA-based therapeutics, and introduce our research and activities to ensure the quality and safety of both modalities.

Keywords : oligonucleotide therapeutics; mRNA-based therapeutics; quality assessment; safety assessment

近年、アンチセンスや siRNA に代表される核酸医薬の臨床開発/実用化が急速に進んでおり、これまで治療法に乏しかった遺伝子性疾患や難治性疾患に対する新たなモダリティとして注目を集めている。また、新型コロナウイルス感染症のワクチン開発を契機に、一般にはほとんど知られていなかった mRNA の医療応用が脚光を浴び、次世代モダリティとして認知されつつある。これらの核酸医薬/mRNA 医薬は、RNA のレベルで生体を制御できる点が大きな特色であり、「疾患の原因となるタンパク質を減少させる」あるいは「機能的なタンパク質を新たに発現させる」という治療/予防の戦略により、極めて高い医療効果が得られる事例が数多く示されてきている。

これらのモダリティは標的分子の核酸配列に基づき構造がデザインされることから、開発の初期段階の過程が極めて早く、臨床試験に到達するまでの期間が短いという利点がある。さらに、標的分子が変わっても原薬としては塩基配列を並びかえるだけであり、その物理化学的性質は大きく変化しないことから、一度開発のプラットフォーム（薬剤の構造、製造法など）が確立すれば、その品質特性、薬力学的特性、薬物動態特性、安全性プロファイル等を比較的容易に予測・評価できるという特徴がある。核酸医薬および mRNA 医薬のこのような利点は、短期間での開発・実用化が望まれる個別化医療（がんワクチンの開発、N-of-1 医療など）や新興感染症に対するワクチンの緊急開発に適した特性であり、近年、注目が集まっている「個」や「有事」に対応可能なモダリティと捉えることができる。

本講演では、核酸医薬および mRNA 医薬の開発動向を概説するとともに、両モダリティの品質・安全性確保に向けた取り組みを紹介する。