

“未来へのバイオ技術”勉強会 革新的核酸医薬で目指す 人に寄り添う医療

アンチセンスやsiRNAに代表される核酸医薬は、急速に実用化が進み、希少疾患や遺伝性疾患だけでなく、患者数の多い自己免疫疾患、中枢疾患、代謝性疾患などを治療し得る創薬モダリティとして期待されている。安価な大量合成法、特異性の高い設計法、臓器選択的な送達技術、安全性などに課題があったが、解決の道も見えかけている。本セミナーでは3つの革新的核酸医薬開発技術を取り上げ、人に寄り添う医療を目指す取り組みを展望したい。

開催日時：2024年4月16日（火）14:00～16:20

セミナー形式：MS-Teams（定員500名） 講演30分+質疑応答10分

主催：バイオインダストリー協会

協賛：日本生物工学会、後援：日本農芸化学会（いずれも予定）

Coordinator：和田 猛氏（東京理科大学 薬学部 生命創薬科学科 教授）

14:05～14:45 Blockmer™を構築単位とするオリゴヌクレオチドの化学合成 **株式会社ナティアス 代表取締役 片岡 正典氏**

核酸医薬の本体であるオリゴヌクレオチド（短鎖核酸）はモノヌクレオチドを1つずつ伸長する旧来の製造方法で化学合成されるが、品質/コスト/生産性など製造上の課題を残しており、革新的な製造技術の創出が望まれている。課題解決に向けて、我々はモノヌクレオチドを簡便な方法で連結した2-12量体のヌクレオチド“Blockmer™”を構築単位とする短鎖核酸合成法を開発した。本法を市販の核酸合成装置や液相法に適用することで短鎖不純物を含まない高品質な短鎖核酸を得ることができる。フロー製造技術の採用によるコストや生産性の課題解決を進める。

14:45～15:25 一塩基変異を含むmRNAのみ特異的に抑制可能な革新的配列設計法（仮題） **株式会社ANRis技術顧問・CTO（Chief Technology Officer）** **東京医科歯科大学 特任教授 程久美子氏**

核酸医薬の中でもsiRNA（small interfering RNA）に着目し、がんや遺伝性疾患等の患者さんに「負担の少ない医療」の提供をめざしている。siRNA医薬品は、全ての遺伝子を標的とすることができるが、これまでの配列設計法では、疾患原因となる一塩基変異を含むmRNAだけでなく、正常なmRNAも抑制してしまうことが課題であった。一塩基変異を含むmRNAのみを特異的に抑制することができる革新的な配列設計法「SNPD-siRNA」（Single Nucleotide Polymorphism-Distinguishable siRNA）を開発し、コア技術としている。

15:25～16:05 核酸医薬のポテンシャルを引き出す「BROTHERS核酸」 **リードファーマ株式会社 代表取締役社長 和田 郁人氏**

核酸医薬は、早い創薬スピードと全ての遺伝子を標的にできることから、そのポテンシャルが期待されている。一方で、核酸はほとんどが尿中に排泄されたり毒性が出てしまったりと、医薬品開発を断念するケースも少なくない。アンチセンス核酸に対して独自の「BROTHERS核酸」技術を開発した。これは修飾核酸による高活性化、独自のリガンドコンジュゲート技術を用いた薬物送達、安全性コントロールからなるプラットフォーム技術であり、脂質異常症をはじめとする循環器疾患を主要なターゲットして研究を進めている。

16:05～16:20 総合討論

座長：和田 猛氏（東京理科大学 薬学部 生命創薬科学科 教授）

参加登録：JBAホームページよりお申し込みください。

締切：2024年4月14日（日）

お問合せ：（一財）バイオインダストリー協会（担当：岸本、北嶋、矢田）