

核酸医薬品事業の早期事業化に向けた体制づくり  
— 致死的遺伝性疾患（難病、希少疾患を含む）への  
早期治療薬提供 —

2015年 7月 31日

日本新薬株式会社

## 核酸医薬品

- DNA(デオキシリボ核酸)やRNA(リボ核酸)の成分である4種類の塩基あるいはその誘導体を組み合わせて化学合成する医薬品。
- 核酸医薬品は、DNAあるいはRNAの配列を認識する。標的部位に特異的に結合して、
  - ① ふさぐ
  - ② 切断する → 分解する
  - ③ 結合因子を奪うことによって作用するのが特徴である。

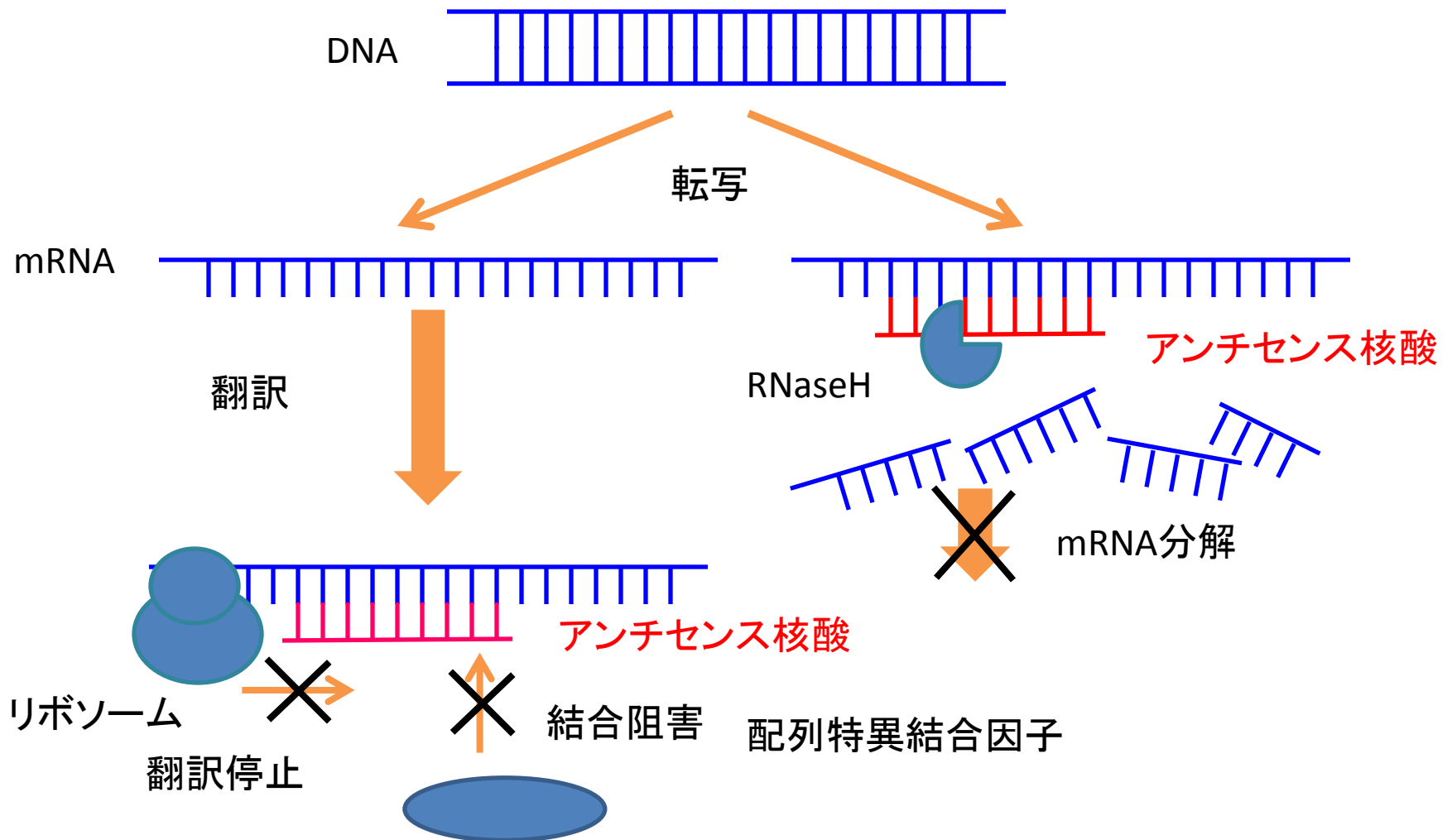
# 核酸医薬品

- 核酸医薬品(Oligonucleotide drugs : ONDs)は低分子や抗体が標的とすることが出来ない**遺伝子**に直接作用できることが特徴である。また、標的や作用機序が明確で、特異性も高いことから副作用も少ないことが期待されている
- 核酸医薬品は有効な医薬品候補と考えられる。  
**しかし**.....

医薬品として開発を行うためには規制等の点でいくつかの課題がある。

# アンチセンス核酸

20-30塩基の一本鎖核酸。mRNAを標的とする。細胞内で作用。



# 核酸医薬品 NS-065/NCNP-01の医師主導臨床試験

2013年05月09日（プレスリリースより）

国産初のアンチセンス核酸医薬品としてデュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤の**臨床試験開始**

日本新薬は独立行政法人国立精神・神経医療研究センター（小平市、理事長：樋口輝彦、以下 国立精神・神経医療研究センター）と、2009年から共同研究を進めてきたアンチセンス核酸医薬品であるデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤（開発番号：NS-065/NCNP-01）を用いて、今年7月より、医師主導で早期探索的臨床試験を開始する予定ですのでお知らせいたします。本治療剤はジストロフィン遺伝子のエクソン53スキップを目的に開発され、本スキップに応答する変異形式を有するDMD患者さんを対象としており、強力な薬効と高い安全性が期待されるモルフォリノ化合物で合成されたアンチセンス核酸です。

日本新薬は、今後、国立精神・神経医療研究センターと連携して臨床開発を進めることで、2018年の上市を目指します。

2015年03月23日（プレスリリースより）

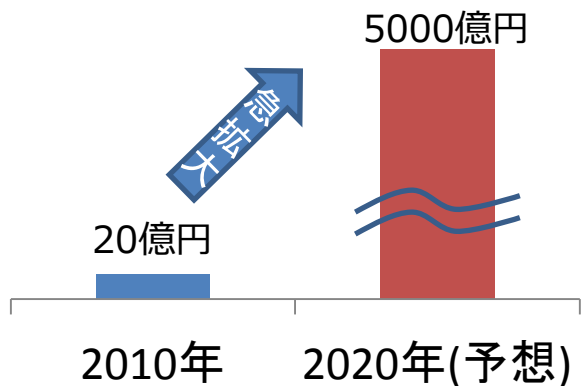
デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤NS-065/NCNP-01の早期探索的**臨床試験の終了**のお知らせ

国産初のアンチセンス核酸医薬品であるデュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤NS-065/NCNP-01の早期探索的臨床試験のすべての投与が終了し、初期の解析において、**本剤の治療効果を予測するジストロフィンタンパク質の発現が確認されました。この結果を受け、本治療剤の開発を進めていきます。**

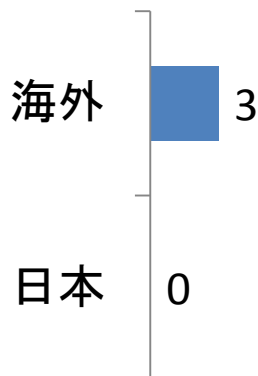
# 核酸医薬品の現状

核酸医薬品は、抗体医薬品に次ぐ次世代医薬品として期待されている一方、いまだ世界で3品目（全て海外）が上市されたのみであり、日本がその開発で先頭を走ることができる創薬分野の一つである。

(市場規模)

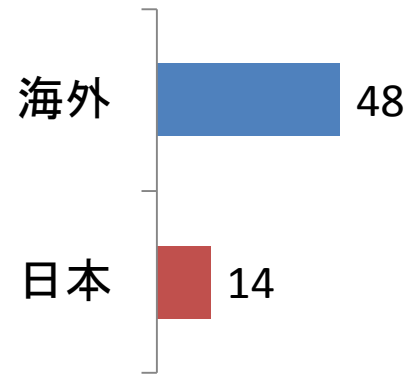


(承認数)



(開発状況)

前臨床段階を含む開発中の医薬品数



(参考資料)シード・プランニング「核酸医薬品等共同製造施設設置に向けた事前調査」、ヒューマンサイエンス振興財団「核酸医薬品の開発と規制の動向」

核酸医薬品においては、基礎研究において、日本はトップレベルにあるとされているにもかかわらず、基礎から開発への橋渡しが不足

再生医療、抗体医薬品の二の舞となる恐れ

# 再生医療製品の現状

日本発の技術のはずなのに、  
実用化で大きく遅れ

再生医療製品の国内外における実用化の動向 (2012年12月時点)

	米国	欧州	韓国	日本	その他
上市製品数	9	20	14	2	6
治験中製品数	88	42	31	4	23

(出典)みずほ銀行「バイオ医薬品分野の動向と我が国を取り巻く競争環境」

## 改正薬事法

(2014年11月25日施行)

再生医療等製品の特性に応じた  
条件・期限付の早期承認制度を導入

**核酸医薬品においても同様の  
早期承認制度の創設が必要**  
(欧米にも条件付早期承認制度あり)

# 抗体医薬品の現状

(承認数)

海外 40

日本 3

市場規模  
2010年 約4兆円  
2020年 約9兆円(予想)

開発が遅れた背景の一つとして、  
ガイドライン整備の遅れがある

米国：1997年 欧州：2008年  
日本：2014年

**核酸医薬品においても核酸に特化した  
ガイドラインの早期整備が必要**