

革新的な次世代核酸医薬の創出に向けた挑戦

核酸医薬は、mRNA等の「病気の設計図」に直接作用する新世代の治療手段です。

根本治療の実現

病因タンパク質の生成を川上で遮断し、従来の医薬では困難だった希少疾患やがん、神経難病の克服を目指します。

安全性と効果

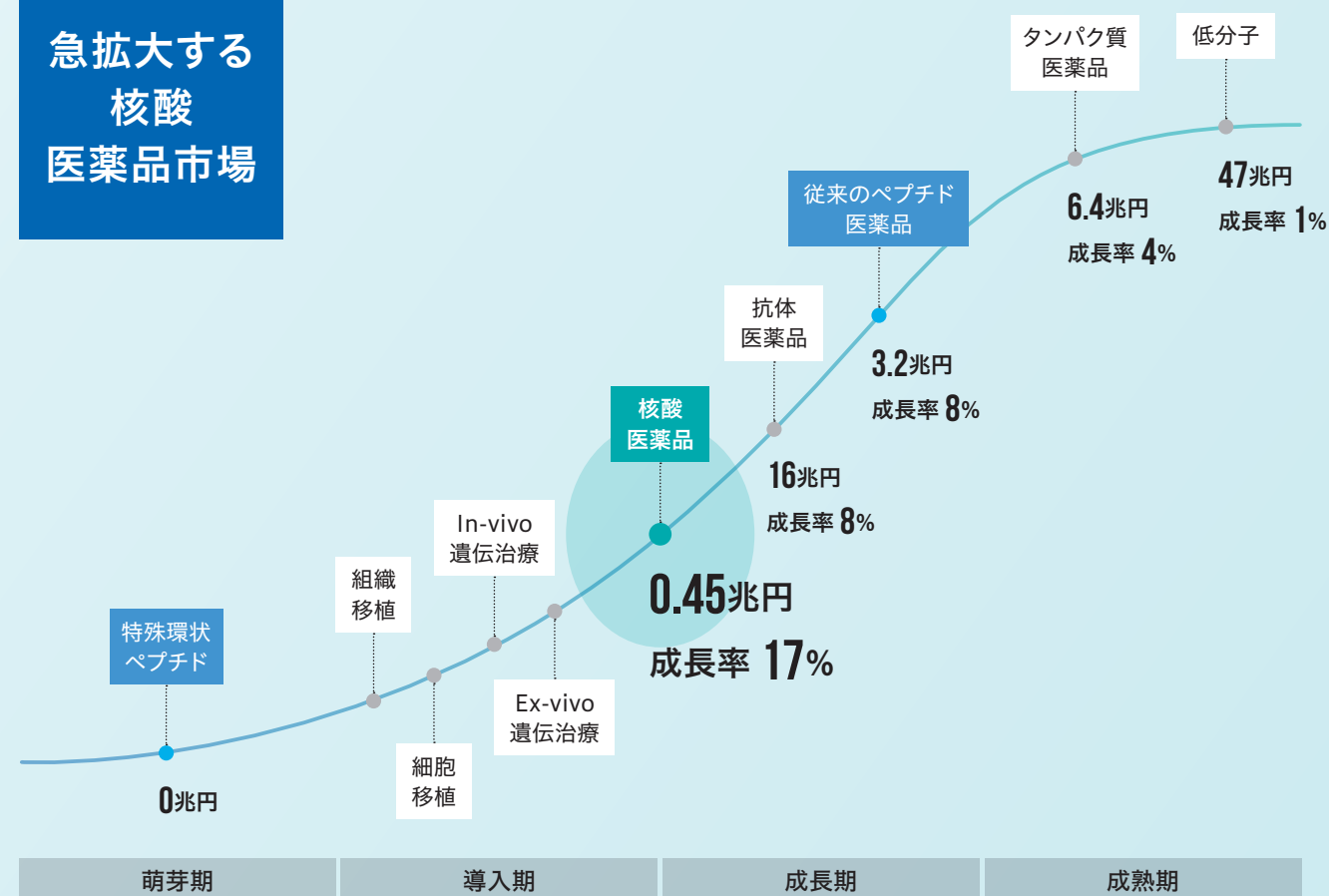
特定の遺伝子を精密に狙い撃つため、副作用を抑えた効率的な治療が可能です。

成長性

市場規模は2030年に約2兆円（2018年比約9倍）に達する見込みです。

当社は、この「究極の個別化医療」の実現に貢献し、医療の常識を塗り替え、企業価値の向上に邁進いたします。

急拡大する核酸医薬品市場

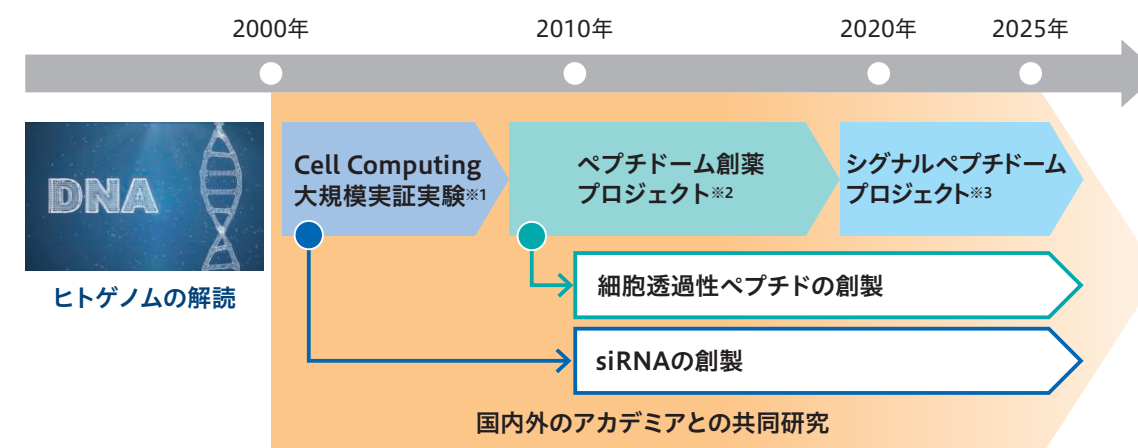


引用元：2020年12月23日 内閣官房 医薬品開発協議会 資料「医薬品関連の産業化に向けた課題及び課題解決に必要な取組みに関する調査」（Arthur D. Little.）
<https://www.cas.go.jp/jp/seisakukaigi/kenkouiryou/iyakuhin/dai2/gijisidai.html>）を加工して作成。

当社の取組み

【当社開発の歴史】

当社は昭和初期に確立したアンモニア合成を基盤とする硫酸製造を起点に、1980年代にBT農業の開発、1990年代に抗体医薬へ参入しました。これらで得られた技術が、2000年以降のメディカル事業へ引き継がれています。



※1 NTTデータと遺伝子病治療研究プロジェクト、ヒトゲノム染色体間法則性解明プロジェクトを推進

※2 慶應義塾大学医学部分子生物学教室、慶應義塾大学先端研究センター、及び慶應義塾大学医学部遺伝子医学研究室との連携

※3 東京大学大学院農学生命科学研究科「シグナルペプチドーム研究」社会連携講座との連携



先端科学研究所 (茨城県つくば市)

先端科学研究所において、ヒトゲノム計画（Human Genome Project）完了直後から、NTTデータと遺伝子病治療研究をスタート。2007年からは、慶應義塾大学医学部分子生物学教室と共同でゲノム解析など遺伝子医学の研究を進めてきました。これらの研究成果に基づきデザインされたsiRNAは、圧倒的な高機能を有し、研究成果が着々と蓄積されております。その後、慶應義塾大学先端研究センターとのペプチド創薬プロジェクト、2023年4月には、東京大学大学院農学生命科学研究科に「シグナルペプチドーム研究」社会連携講座を設置。革新的な細胞透過性ペプチドを見出してきました。現在、シグナルペプチドの網羅的解析により未知の生命現象の探求を進めており、国内のアカデミアやアライアンスパートナーと共に、事業化への取組みを推進しています。

革新的な次世代核酸医薬の創出に向けた挑戦

ポイント

1

siRNA

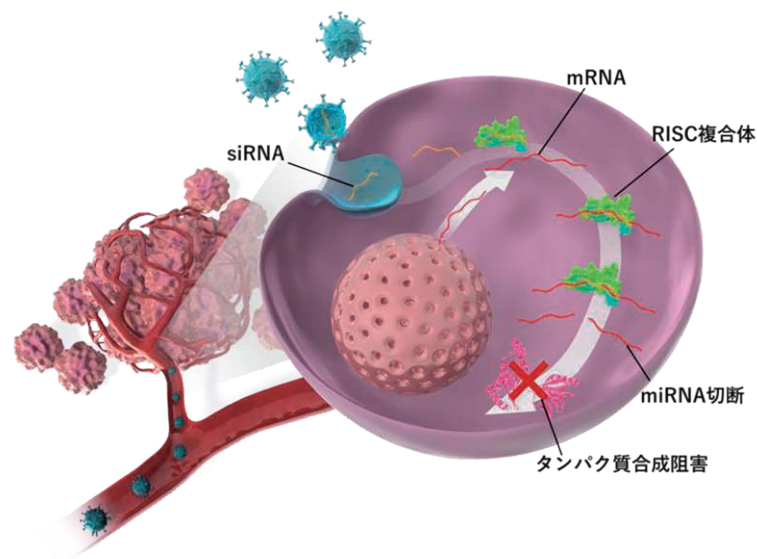
核酸医薬のなかでも、いま特に熱い視線が注がれているのが小分子干渉RNA（siRNA）です。かつては「実用化は困難」と言われた時期もありましたが、現在では核酸医薬品開発の主役になっています。

1. siRNAが「最強」の理由

siRNAの最大の特徴は、細胞内に備わっているRNA干渉（RNAi）という自然の仕組みをハイジャックして利用する点にあります。siRNAは細胞内の「RISC」という複合体に取り込まれると、1分子のsiRNAが次から次へと標的mRNAをバラバラに切断する「触媒」として働きます。そのため、少量で劇的な効果が得られるため、投与量を減らし、副作用のリスクを抑えることが可能です。

2. なぜsiRNAが選ばれる？

siRNAはRNA干渉（触媒の分解）により圧倒的な活性と持続性を有しています。半年に1回の投与で済む例もあります。siRNAは一度細胞内に入ると安定して働き続けるため、「年に1～2回の注射で治療が完結する」という、従来の薬では考えられなかったライフスタイルを患者さんに提供できる可能性があります。これが、製薬企業がこぞって開発を加速させている大きな理由です。



ポイント

2

細胞透過性ペプチド

核酸医薬は、細胞の中に入らなければ効果を発揮しません。しかし、核酸は巨大でマイナスの電荷を帯びているため、脂質の膜でできた細胞壁に阻まれてしまいます。これを突破する「運び屋（DDS）」として、細胞透過性ペプチド（CPP）が注目されています。

1. 圧倒的な「小ささ」と「シンプルさ」

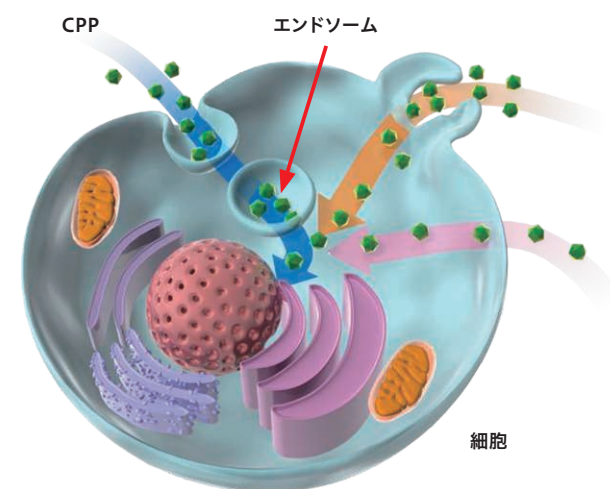
構造がシンプルで分子量が小さいため、組織のより深部まで浸透しやすく、製造コストも抑えられる可能性があります。

2. 「エンドソーム脱出」の効率化

細胞が異物を取り込む際、通常は「エンドソーム」という袋に閉じ込められ、そのまま分解されてしまいます。薬を効かせるには、この袋から脱出する必要があります。特定のCPPは、細胞膜を直接通り抜けたり、エンドソームの膜を効率よく壊したりする機能を持ちます。これにより、脂質ナノ粒子（LNP）よりも効率的に「本来届くべき場所（細胞質や核）」へ薬を届けられると期待されています。

3. 多彩な「連結」バリエーション

CPPは、核酸医薬品と化学的に直接つなぐ（コンジュゲート）ことができます。LNPなどの脂質の袋に包むタイプと違い、狙った細胞の表面にある受容体に結合する「標的化素子」を組み合わせるカスタマイズが可能です。これにより、特定の臓器やがん細胞だけを狙い撃つ精度が高まります。



キーパーソンに聞く

siRNAとCPPを中核とする核酸医薬研究が当社の強み

先端科学研究所
フェロー 吉田 徹彦 所長
元慶應義塾大学医学部遺伝子医学研究室訪問教授

独創的な分子設計に基づくsiRNAの創製・最適化と、核酸医薬DDS（薬物送達システム）を指向した細胞透過性ペプチド（CPP：Cell Penetrating Peptide）研究を両輪として、次世代核酸医薬の創出に取り組んでいます。標的配列設計や化学修飾、作用機序に基づく活性・特異性の向上を通じて高機能siRNAを創出し、標的細胞への選択的送達、細胞内移行、エンドソーム脱出を統合的に最適化します。難治性疾患、神経変性疾患、希少疾患などのアンメット・メディカル・ニーズ（Unmet Medical Needs）に対する新規治療概念の創出を目指し、欧米の大学との共同研究も積極的に展開しています。



PICK UP

既存技術を凌駕する次世代DDS「CPP」の開発
～京都大学iPS細胞研究所との共同研究で核酸・遺伝子治療に革新を～

当社は、京都大学iPS細胞研究所との共同研究を通じて、核酸医薬や遺伝子治療の社会実装を加速させる次世代DDS（薬物送達システム）「CPP：細胞透過性ペプチド」の開発を推進しています。

10～30残基の短鎖アミノ酸が持つ電荷や疎水性を最適化する独自の設計技術により、siRNAやmRNAの細胞内送達および発現効率を飛躍的に向上させることに成功しています。現在は「細胞標的化」「エンドソーム脱出制御」「コンジュゲート化」「多機能複合体」の4領域を軸に研究を展開。既存の送達技術を凌駕する高効率と安全性を両立したスマートなDDS基盤の構築により、革新的な次世代治療法の確立を目指してまいります。