

## 今後重点的に取り組むべきR&Dテーマ候補

1. 新規核酸医薬
2. 新規遺伝子細胞治療
3. ヘルスケアサービス評価のための健康度測定

(一財)バイオインダストリー協会  
塚本 芳昭

# 1. 新規核酸医薬

## 背景

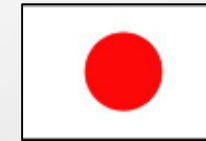
- ・既存の低分子医薬や抗体医薬は、創薬ターゲットが枯渇しており医薬品創製に長期間を要する
- ・既存の核酸医薬は膨大な種類の立体異性体の混合物
- ・多くの特許は海外に依存している

$2^{n-1}$   
混合物



## 開発の眼目

- ・国産プラットフォーム技術による新規核酸医薬分子の合成
- ・立体制御された核酸分子を短時間で高収率に合成可能な技術開発
- ・安価に大量合成/精製できる技術開発
- ・アカデミアのシーズ(新規核酸医薬分子)の有効性と安全性を検証
- ・原料供給、オリゴマー合成などのサプライチェーン構築
- ・品質管理規格化取組み



立体制御された  
核酸分子



⇒迅速かつ安価に医薬品を国産供給できる体制構築



## 2. 新規遺伝子細胞治療

### 背景

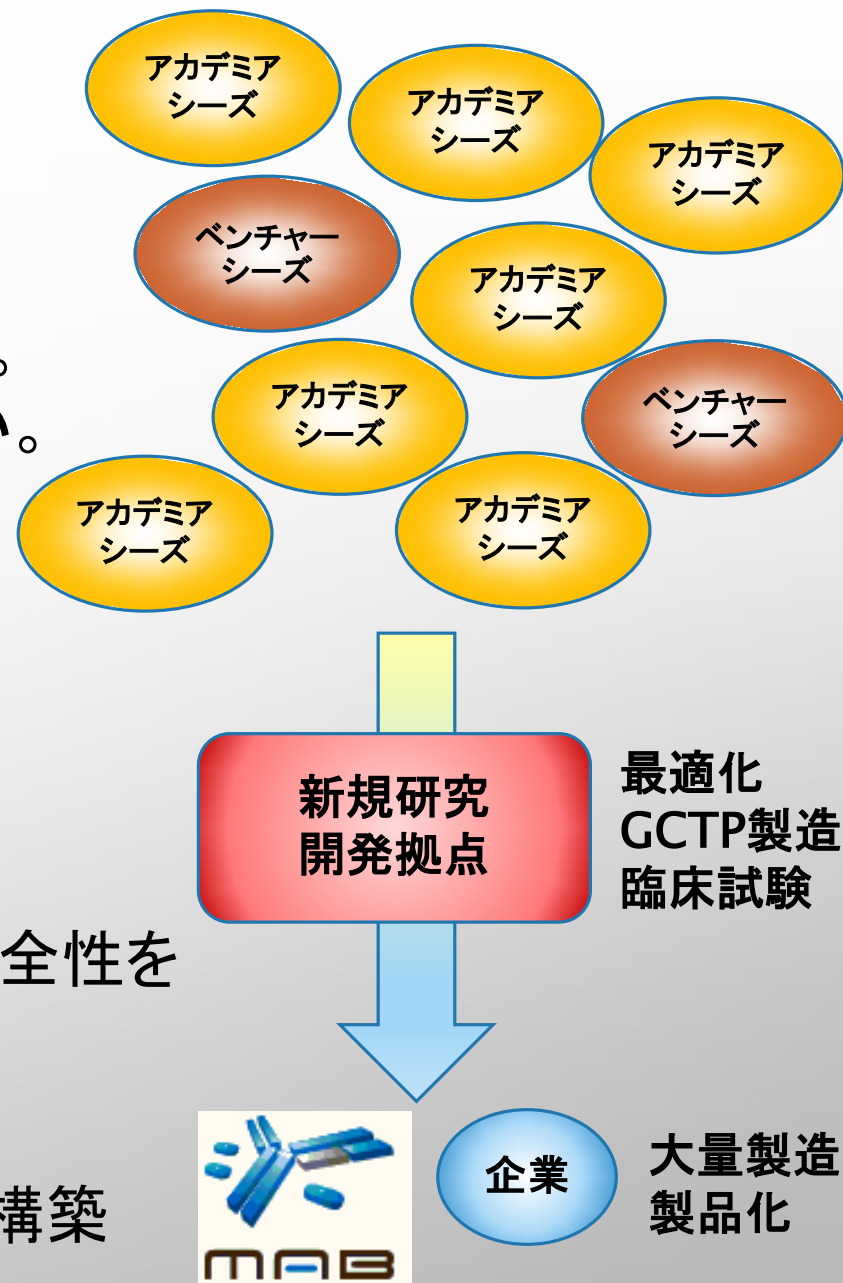
- ・通常の医薬品は対処療法であり、根治療法でない。
- ・既存の遺伝子細胞治療は、治療費が極めて高額である。
- ・AAVベクターは抗原性が高いため単回投与しかできない。

### 開発の眼目

現存するベクターおよび新規ベクターを用いて

- ・遺伝子細胞治療による根治療法の提供
- ・新規DDS技術の開発
- ・複数回投与できる遺伝子細胞治療用ベクターの開発
- ・アカデミアなどのシーズ(遺伝子細胞治療)の有効性/安全性を検証する研究開発/GCTP製造拠点を関東圏に構築
- ・品質管理基準の規格化

⇒ 遺伝病の克服やがん治療を安価に国産供給できる体制構築



### 3. ヘルスケアサービス評価のための健康度測定

#### 背景

- ・診断法はあるが、**健康の度合い**を科学的に判断する術がない。
- ・様々なヘルスケアサービスが存在するが、**健康に対する効果**を測定する術がない。

#### 開発の眼目

- ・健康の度合いを評価し、健康に向けた行動変容を誘発
- ・ヘルスケアサービスの効果を検証し、その妥当性を評価

⇒ 「**健康度**」を測定

$$H(\text{健康度}) = F\{D1(\text{食事}), D2(\text{運動}), D3(\text{睡眠}), \dots, Dx(\text{コミュニティ連携度}), \dots, Dz(\text{性別、年齢、ゲノムetc.})\}$$

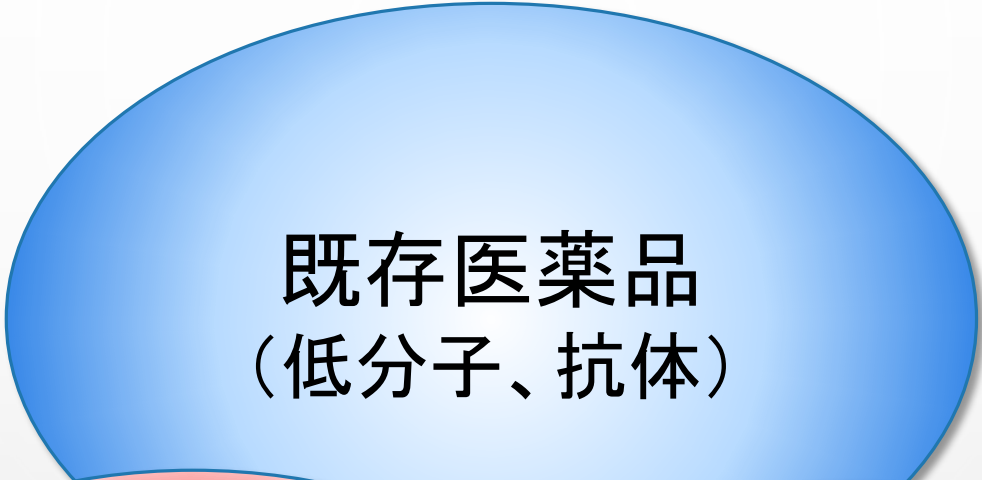
(生活習慣)

(社会性、メンタル)

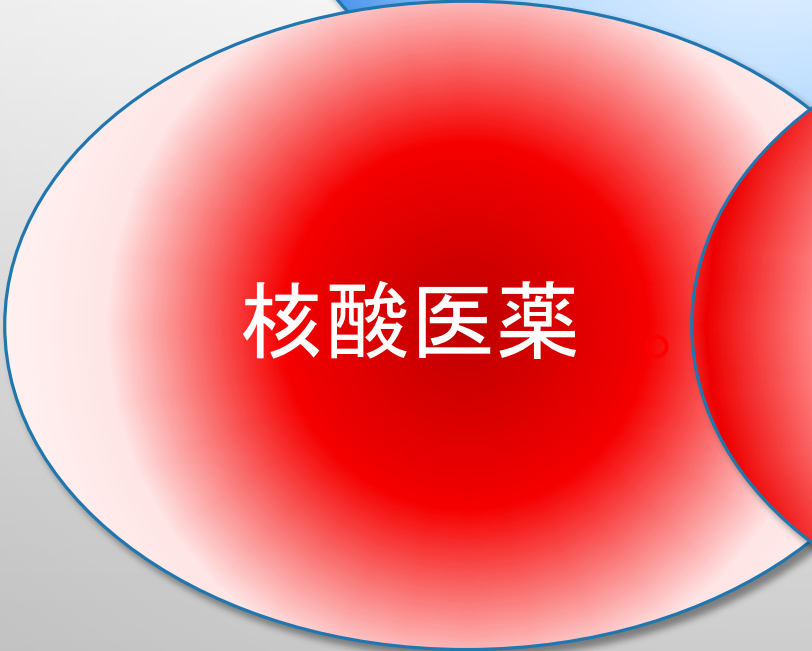
(遺伝的要因)

1. 測定項目および測定方法を決定し、実証ツールを作製
2. 上記計算式を確定するために、AIを活用
3. (国内)実証試験により、健康度算出の妥当性を検証
4. 健康領域から疾患発症～予後までの評価を可能にする。
  - ✓ 医療データ、遺伝子バンク(東北メディカル・メガバンク機構等)との連携を視野に入れる。
5. 出口戦略として、AIヘルスケアアドバイザー等

# 医薬品モダリティ間の相違



- ・低分子医薬は安価
- ・ターゲット枯渇が課題



- ・短期間で創薬
- ・mRNA発現などを直接制御可能
- ・創薬対象が拡大



- ・遺伝病の治療
- ・個別化医療
- ・長期の効果持続
- ・根治療法も可能