

平成 30 年 6 月 26 日

各位

会社名 株式会社ジーンデザイン  
代表者 代表取締役 湯山 和彦  
問い合わせ先 学術営業部部長  
内海 荘一  
電話番号 072-640-5180

## 国家戦略特区事業認定に関するお知らせ

### —核酸原薬の製造開発のさらなる強化を目指します—

この度、弊社は、現在進めております「核酸医薬API<sup>(※1)</sup>開発センター設置による原薬開発事業」が国家戦略特区の指定事業として認定を受けました。

核酸医薬品<sup>(※2)</sup>はヒトの遺伝子領域が広範囲であることから、核酸の配列で各種疾患に対応することが可能であり、また化学合成品であることから、劣化しにくく長期の保存を可能とする等の性質を持つため、抗体医薬に続く次世代のバイオ医薬分野として注目されており、世界的に研究開発が進められております。

そのような中、当社は、核酸の製造及び高機能化等の実用化に向けた開発を進め、国内最大の核酸治験薬製造設備を導入し、平成 22 年に核酸医薬として国内初の医薬品製造業許可を取得しました。さらに、その開発品を製造承認申請まで進めるため、平成 25 年に核酸医薬CMC<sup>(※3)</sup>研究センターを設置し、分析技術開発や理化学評価の検討を行ってまいりました。

本事業では、今後増大する核酸原薬の需要に応えるため、当社がこれまでに開発を行ってきた固相合成法による核酸製造技術をさらに発展させるとともに、味の素株式会社がペプチド製造で開発した液相合成法(AJI PHASE<sup>®(※4)</sup>)による製造技術を核酸に応用することにより、製薬企業・研究開発機関が必要とする開発段階から t (トン) 単位の核酸原薬の供給を可能とします。この製造技術開発のために、GMP<sup>(※5)</sup>準拠の「核酸医薬API開発センター」を新設し、原薬製造の実用化を進め、核酸医薬品の開発初期における多様なパイプラインに柔軟に対応し、開発の入り口から商業生産までを一貫して支える体制を提供することを目的としております。

本事業に基づき、新しい核酸原薬製造技術の研究開発拠点を新設し新たな製造技術を確立することにより、我が国が最先端の核酸医薬品製造基盤技術を確立し、今後急拡大する核酸医薬品の先進地域となるとともに、開発・製造受託会社<sup>(※6)</sup>として世界の企業をリードし、先端医療分野における国際競争力の強化に貢献できるものと考えております。

<ご参考>

#### 1. 事業の概要

核酸医薬API開発センター設置による原薬開発事業

#### 2. 事業実施場所

大阪府茨木市彩都あさぎ7丁目7番29号

#### 3. 事業実施期間

平成30年2月1日～平成35年3月31日

## 核酸医薬API開発センター



### —用語の解説—

#### ※1 API

医薬品において薬効を発揮する活性本体 (Active pharmaceutical ingredient) の略で、原薬とも言います。

#### ※2 核酸医薬品

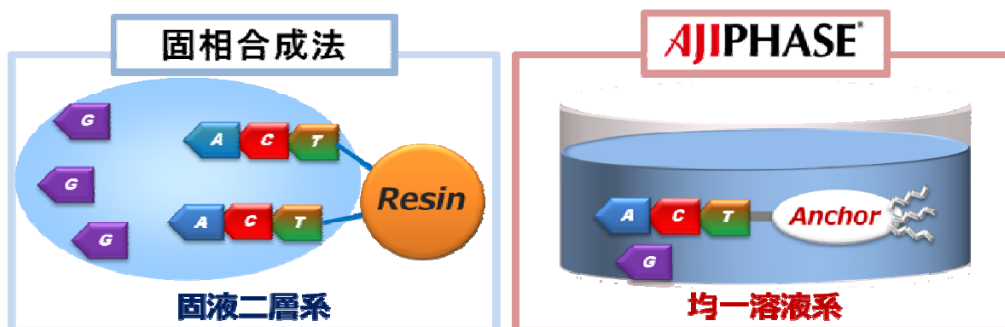
核酸あるいは修飾型核酸が直鎖状に結合したオリゴ核酸を薬効本体とし、タンパク質発現を介さず直接生体に作用するもので、化学合成により製造される医薬品を指します。主な種類としては、メッセンジャーRNAの機能を阻害する small interfering RNA (siRNA) やアンチセンス、マイクロRNAの阻害剤や補充剤、免疫調節に作用する CpG オリゴ、抗体と類似の機能をもつアプタマー、転写因子を阻害するデコイ等があります。核酸医薬品は、化学合成により再現性高く作ることができる、低分子薬や抗体医薬が作用できない標的を狙うことができる、作用機序が明確で特異性も高い、などの特徴から、次世代の医薬品として開発が急速に進められております。

#### ※3 CMC

Chemistry, manufacturing and control の略です。医薬品製造の研究・開発の基礎となる各種物性データや品質管理の基本となる分析技術に関わります。

#### ※4 AJIPHASE®

味の素社が開発に成功した「液相合成法」を用いた核酸やペプチドの CDMO 事業を意味します。液相合成法は、一般的な固相合成法に比べて大量合成に優れています。



左図は固相合成法の模式図、右図は液相合成法の模式図です。通常、オリゴ核酸の製造は、高分子担体（図中 Resin）等の固相表面に核酸鎖を順次結合伸長させていく「固相合成法」が用いられています。一方、「液相合成法」においては、固相合成法における高分子担体にかえて、有機溶媒によく溶ける保護基（図中 Anchor）を用います。Anchor を用いる事で、オリゴ核酸鎖が伸びても均一溶液として存在するため、合成の高効率化に優れているだけでなく、Anchor の性質を利用した単離・精製を可能にし、製品の高純度化をもたらさうる技術です。「液相合成法」は「固相合成法」で必要な特殊な固相合成機が不要で大量合成に適しております。一方で、「固相合成法」は少量多品種を短納期で合成することに適しています。

#### ※5 GMP

Good Manufacturing Practice（医薬品等の製造管理及び品質管理の基準）の略です。医薬品製造の要求事項（国内では法的要件）として、近年では日米欧を中心としたグローバルな調和が図られています。

#### ※6 開発・製造受託会社（CDMO=Contract Development & Manufacturing Organization）

製薬企業、アカデミア創薬機関等から、医薬品の製法開発および前臨床・治験・商業段階までの製造を受託することを主たる事業として展開している企業・組織のことを指します。