

# 開催報告

## 支部事業 学術講演会

### ● 第 50 回学術講演会 「核酸を標的とするモダリティの新展開」

日 時：2025 年 10 月 24 日（金）13：30～17：05  
会 場：日本薬学会長井記念ホール（渋谷区渋谷 2-12-15）  
主 催：日本薬学会関東支部  
共 催：日本核酸医薬学会レギュラトリーサイエンス部会  
実行委員長：井上 貴雄（国立医薬品食品衛生研究所）

近年、これまで有効な治療法がなかった遺伝性疾患や難治性疾患に対し、DNA や RNA を標的とする新規モダリティの開発が活発化している。RNA を標的とする核酸医薬については、アンチセンス医薬及び siRNA 医薬の実用化が進んでおり、2025 年 11 月までに 22 品目が上市されている。DNA を標的とするゲノム編集製品についても、2023 年に世界初となる承認品目が誕生している。本学術講演会では、以上のような先行製品の開発動向を俯瞰するとともに、国内において独自技術を用いて開発される核酸標的モダリティの新展開について、トップランナーの先生方にご紹介いただき、核酸標的モダリティの優位性、課題、評価・規制の在り方、今後の展望等を議論することを目的に企画した。



講演会冒頭には、齋藤嘉朗関東支部長（国立医薬品食品衛生研究所）より開催のご挨拶をいただいた後、井上貴雄より「核酸を標的とするモダリティの新展開」と題して、核酸医薬およびゲノム編集製品の開発動向と最新トピックスならびに各講演者のご研究の位置づけについて概説した。

続く二題は国産のゲノム編集技術について、真下知士先生（東京大学医科学研究所）ならびに山本卓先生（広島大学）からご講演いただいた。真下先生からは「CRISPR-Cas3 によるゲノム編集治療」として、従来の Cas9 とは異なる特徴を有する Cas3 システムの医療への応用についてご紹介いただいた。山本先生からは、「新規の ZFN (ZF-ND1) を利用したゲノム編集治療技術開発」として、独自設計のジンクフィンガーヌクレアーゼによるゲノム編集技術と医療・産業応用への展望についてご講演いただいた。

その後、国産の核酸医薬技術に関して、程久美子先生（東京大学）から「1 塩基の変異を区別する次世代型 SNPD-siRNA」として、変異配列のみを特異的に認識・切断する siRNA 技術についてご講演いただいた。福田将虎先生（福岡大学）は「A-to-I RNA 編集核酸医薬の開発」と題した講演で、内在性 RNA 編集機構を利用し、RNA レベルで可逆的に塩基置換を行う治療コンセプトの可能性を示された。さらに谷川清先生（株式会社 StapleBio）は「化学の『チカラ』を最大限に活かす核酸医薬戦略」として、RNA に結合し、タンパク質の発現量を調整する Staple 核酸の技術を紹介された。最後に、中森雅之先生（山口大学）からは、「筋強直性ジストロフィーの RNA/DNA 標的治療」として、難治性筋疾患に対する RNA ならびに DNA の双方を標的とした治療アプローチと、その開発の現状が報告された。

質疑応答では、オフターゲットリスク評価、長期安全性、規制当局との対話の在り方など、幅広い論点について活発な議論が交わされた。講演会終了後には情報交換会も開催され、和やかな雰囲気の中、産官学が入り交じり意見交換が行われた。



最後に、関東支部長の齋藤嘉朗先生、6 名の演者の先生方ならびにご参加いただいた多くの皆さま方に、充実した学術講演会となったことに改めて感謝申し上げたい。本会が、核酸標的モダリティの研究開発の一層の進展につながれば幸いである。

第 50 回日本薬学会関東支部学術講演会実行委員長  
井上 貴雄（国立医薬品食品衛生研究所）

## **プログラム：**

- 13：30～13：35 開催挨拶（齋藤 嘉朗 日本薬学会関東支部長）
- 13：35～13：45 「核酸を標的とするモダリティの新展開」  
井上 貴雄（国立医薬品食品衛生研究所）
- 13：45～14：15 「CRISPR-Cas3 によるゲノム編集治療」  
真下 知士先生（東京大学医科学研究所）
- 14：15～14：45 「新規の ZFN(ZF-ND1)を利用したゲノム編集治療技術開発」  
山本 卓先生（広島大学）
- 14：45～15：15 「1塩基の変異を区別する次世代型 SNPD-siRNA」  
程 久美子先生（東京大学）
- 15：15～15：30 （休憩）
- 15：30～16：00 「A-to-I RNA 編集核酸医薬の開発」  
福田 将虎先生（福岡大学）
- 16：00～16：30 「化学の「チカラ」を最大限に活かす核酸医薬戦略」  
谷川 清先生（株式会社 StapleBio）
- 16：30～17：00 「筋強直性ジストロフィーの RNA/DNA 標的治療」  
中森 雅之先生（山口大学）
- 17：00～17：05 閉会挨拶（井上 貴雄 日本薬学会関東支部学術講演会実行委員長）
- 17：20～19：00 情報交換会（長井記念ホールロビーにて）

## **連絡先：**

日本薬学会関東支部事務局  
〒150-0002 渋谷区渋谷 2-12-15  
E-mail: kantoshibu@pharm.or.jp