

平成24～
26年度

平成27年度

平成28年度

ガイドラインの策定を指向した
「品質の担保と評価の方法」及び「非臨床安全性評価法」
の第一次草案作成

「品質の担保と評価の方法」及び「非臨床安全性評価法」
の作成

現行ガイドラインとの比較による課題と留意点の抽出

課題の分析

品質の担保と評価 非臨床安全性評価

ヒアリング等による意見徴募

ヒアリング等
による意見徴募

内容の作成及び検討

再検討

再検討

第一次草案の構成の検討
課題に対する対応策の検討

第一次草案

改訂

第二次草案

改訂

評価法

PMDA & NIHSとの意見交換

臨床安全性評価

核酸医薬特有の注意点の調査

課題と留意点のまとめ

抗PCSK9アンチセンスを題材にした
臨床試験計画の立案

課題抽出

第一次草案の作成

構成及び課題検討

課題の精査

ヒアリング等
による意見徴募

第一次草案

内容の精査

評価法

PMDA & NIHSとの意見交換

臨床開発に向けた研究

① AmNA搭載型抗ヒトPCSK9アンチセンス核酸の薬効及び安全性評価より最終候補を決定

in vitro薬効試験
マウスを用いた毒性スクリーニング



最終候補と2種のバックアップを選定

② リンの立体異性体の生成比の検討

小 立体異性体比への影響 大

アミダイトの立体S化剤の種類
固相担体の種類

活性化剤の種類
前後配列

連携事業

厚生労働科研
医療技術実用化総
合研究事業

大阪大学橋
渡し研究
支援推進
プログラム

③ カニクイザルを用いた薬効確認試験
④ AmNAのスケールアップ合成の
検討、最終候補品の合成検討

AmNAのスケールアップ製造
最終候補品の製造検討を実施と
スケールアップに向けた検討開始

④ 非臨床安全性試験の開始に
向けた事前相談の実施

事前面談 2回実施
対面助言 3月実施

人材交流と育成

NIHS
to: 派遣1名
from: 招聘1名

官学連携

官学連携

PMDA
to: 派遣2名
from: 在籍招聘3名

国内企業
(株)ジーンデザイン
塩野義製薬(株)

産学連携

医薬連携

NCVC
to: 客員研究員1名
from: 招聘2名

最新の情報収集
創薬基盤技術力
創薬臨床力
薬事戦略能力
Regulatory Science

非臨床試験実施戦略
品質担保方針立案
試験計画立案
薬事戦略相談

調査研究会議
(意見交換)
2回開催

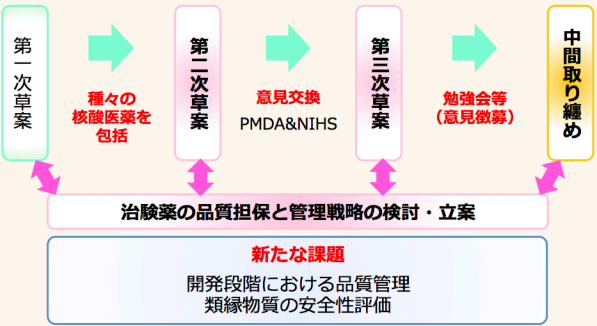
実務者会議
(共有・報告)
計4回実施

担当者
ミーティング
適宜開催

品質の評価と担保に関する調査研究

達成内容

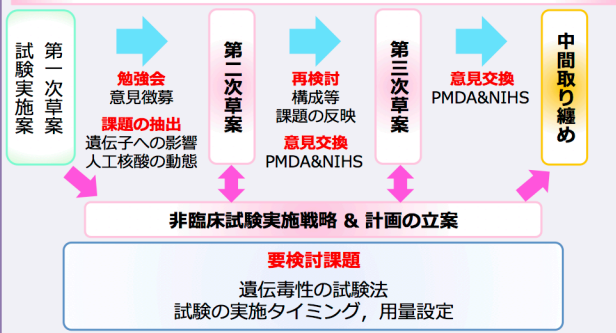
- ガイドライン構築の基盤作成：中間取り纏め (H27.01.20) 『核酸医薬の品質管理に関する課題と留意点』の作成
第二次草案 (H26.05.13)
意見の交換 (H26.06~09：PMDA、NIHS)
第三次草案 (H26.10.16)
意見徴募 (H26.11.26：第二回核酸医薬RS勉強会)
- 抗PCSK9アンチセンスの品質担保方針立案
- 治験薬の品質担保と管理戦略の立案



非臨床安全性評価に関する調査研究

達成内容

- ガイドライン構築の基盤作成：中間取り纏め (H27.01.20) 『核酸医薬の非臨床安全性試験に関する課題と留意点』の作成
第二次草案 (H26.05.14)
意見徴募 (H26.08.04：第一回核酸医薬RS勉強会)
意見の交換 (H26.06~12：PMDA、NIHS)
第三次草案 (H26.12.20)
- 抗PCSK9アンチセンスの非臨床試験実施戦略及び試験計画の立案



臨床試験の実施に関する調査研究

達成内容

- 核酸医薬の臨床試験における課題の抽出
- 抗PCSK9アンチセンスの臨床試験実施方針と試験計画の素案作成

