

現在

1年目

2年目

3年目

4年目

5年目

前臨床研究

核酸医薬の安全性・有効性評価法の確立

臨床研究

医師主導型臨床研究
(付置病院)

マイクロドーズ試験

大阪大学医学系研究科・国立循環器病研究センター・付置病院

医薬連携



核酸医薬の世界基準の安全性・有効性評価法

大学・ナシヨセン発の革新的核酸医薬の治験を開始

革新的核酸医薬を創成し、既に細胞・動物レベルで
有効性・安全性を実証済み

大阪大学薬学研究科・NIHS・PMDA

<品質評価>

- ・不均一性・不純物の評価
- ・性状・安定性の評価
- ・高次構造の評価

<動態評価 (ADME) >

- ・PETイメージング・ELISA法を用いたげっ歯類・霊長類での生体内安定性・体内（細胞内）動態の評価
- ・代謝産物の同定

<有効性評価>

- ・GLP対応の非臨床試験
- ・げっ歯類有効配列の選択
- ・ヒト細胞を用いた有効配列のヒト化検討
- ・ヒト特異的作用の予測

<安全性評価>

- ・単回毒性、反復毒性、遺伝毒性、生殖毒性など
- ・オフターゲット効果の評価
- ・インターフェロン応答の評価

ヒト初回投与試験に資するガイダンス作成

臨床研究情報を基に更なる改定

<臨床試験結果の評価>

- ・臨床研究結果の精査
- ・試験デザインの更新

<有効性・安全性評価法の再構築>

- ・構築した有効性・安全性評価法の妥当性評価と、評価項目の改訂・追加に関する検討

<有効性・安全性評価法の再評価>

- ・他機関でのバリデーション評価による有効性・安全性評価法の標準化
- ・本核酸医薬のみならず、他の核酸医薬を用いて有効性・安全性評価法の汎用性評価

<核酸医薬の再評価>

- ・安全性を向上させたヒト化核酸医薬の再創成
- ・核酸医薬の有効性・安全性を精査し、治験に向けた準備



本学発の核酸医薬の臨床研究を通じて、レギュラトリーサイエンス・薬事審査に精通した人材を育成