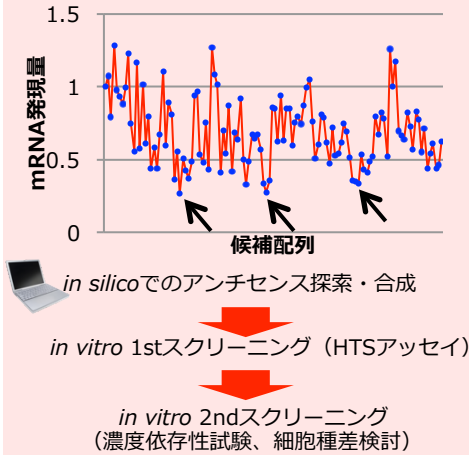
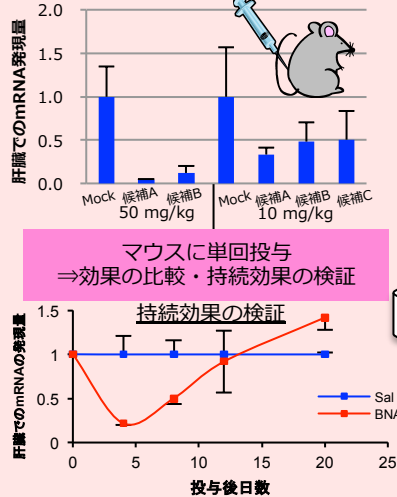


## 臨床開発に向けた研究

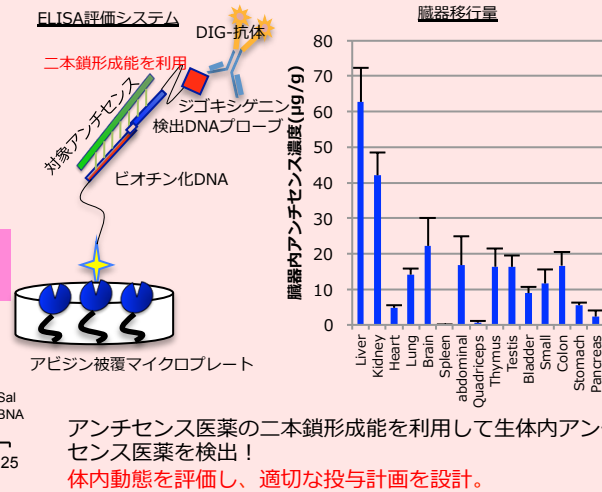
### ① 開発候補化合物のスクリーニング



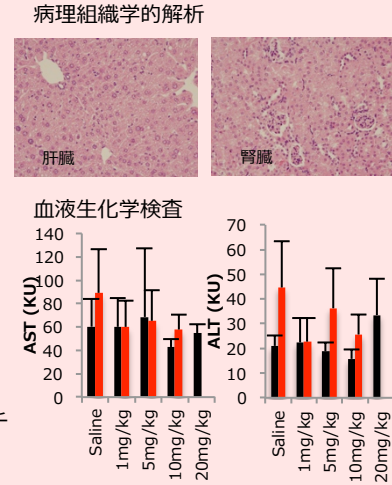
### ② in vivoスクリーニング



### ③ 薬物検出システムの構築・動態評価



### ④ 安全性の評価

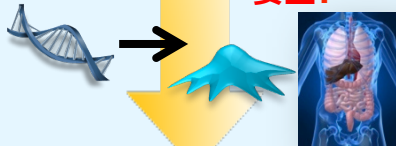


## ガイドランス作成に向けた基盤構築の取り組み

### オフターゲット効果を中心とした安全性に関する研究

- ・ オフターゲット効果の予測
- ・ 自然免疫活性化機序の解明
- ・ 細胞毒性の発現機序の解明

安全?



副作用を誘発しない安全な核酸医薬品の開発へ

### 原薬の品質担保及び非臨床評価に関する研究

核酸医薬：人工的に合成される短鎖の核酸

合成医薬品に適用されるガイドライン等を核酸医薬の開発に用いた場合に生じる課題を抽出

#### CMCにおける課題

- 多様な類縁体の同定と純度の決定
- 配列および高次構造の確認

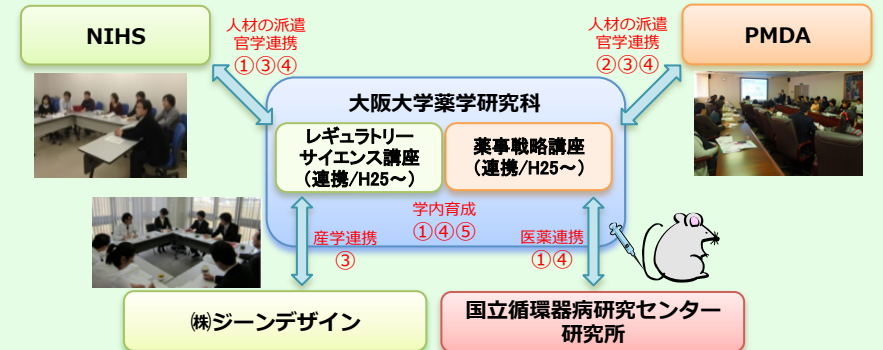
#### 非臨床評価における課題

- 動物種の選択 (ヒトに対する特異性)
- 代替モデルによる評価方法
- 非天然型人工核酸の動態と安全性

調査研究による精査や基礎的実験など

核酸医薬の持つリスクを予測/管理するための基盤構築へ

## 人材の交流と育成



- ① 基礎研究の推進による研究者育成
- ② PMDA講師による講演会
- ③ ミーティングによるスキルアップ
- ④ 最新の情報収集と調査研究
- ⑤ 創業基盤技術力、創業臨床力の養成

レギュラトリーサイエンスや薬事戦略を担う人材の育成  
医薬品研究の第一線で活躍する人材の育成  
成果の社会還元