

次世代医療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業  
(国際基準に適合した次世代抗体医薬等の製造技術)  
事後評価報告書

研究開発課題名	核酸医薬の革新的大量製造システムの構築
代表機関名	株式会社ジーンデザイン
研究開発代表者名	南海 浩一
研究期間	平成 25 年度～平成 27 年度終了

### 1. 研究開発概要

抗体医薬に続く次世代の医薬品として“核酸医薬”に対する期待が高まっているが、製造コストの高さが核酸医薬開発のボトルネックになっている。そこで、核酸モノマーの実用的な合成法、実製造に適した核酸の液相合成方法、液相合成により得られる核酸の品質保証技術を開発し、実生産に適した液相オリゴ核酸合成法を実現し、核酸医薬製造のコストダウンを実現する。

### 2. 研究開発成果

位置選択的な保護基の導入を達成し、良好な収率かつ1/3 未満のコストでRNA モノマーを合成する技術をラボスケールで達成した。開発したモノマー用いて固相合成と同様のリニア型の合成を行い、20 塩基長のRNA オリゴマーが合成できることを実証した。しかし、各サイクルの合成効率に関しては、目標であった「98%以上」は達成できなかった。

### 3. 総合評価

本研究開発課題の研究開発達成状況は不十分である。

可溶性ポリマーの利用など液相法の確立に向けて画期的な要素技術の開発を行い、20 塩基オリゴ核酸の合成に成功し、またコスト的にも有望なモノマー合成法を確立したことは評価できる。

しかし、液相法の実用化の見通しは立っていないため、今後の研究開発に期待する。