

内分泌・代謝学共同利用・共同研究拠点セミナー 生活習慣病解析プロジェクト共催

Joint/Usage Research Seminar

Co-organized by Life-style diseases Program Project

# 新規テクノロジー・モダリティによる 希少疾患治療薬のブレイクスルー

## Breakthrough in Rare Disease Therapeutics Created by Novel Technology or Modality

### 高石 巨澄 先生

### Kiyosumi Takaishi, Ph.D.

第一三共株式会社スペシャルティ第一研究所 第一グループ グループ長  
Laboratories Senior Director, DAIICHI SANKYO CO., LTD.R&D  
Division Rare Disease & LCM

日時：令和元年11月8日（金） 16:00～

Date：11<sup>th</sup> November, 2019 16:00～

会場：生体調節研究所 1F 会議室

Location：IMCR Gunma Univ.1F Conference Room

希少疾患は、患者数が日本では5万人未満、米国では20万人未満、欧州では1万人あたり5人以下の疾患と定義されている。希少疾患は世界に約7,000あるとされ、その多くは重篤な遺伝性疾患で有効な治療法が確立していない。従来、希少疾患に対する医薬品は、研究開発コストを回収することと低分子化合物で遺伝性疾患に有効な治療薬を創出することの両面の難しさから、製薬会社では積極的に開発されてこなかった。最近になってバイオベンチャーが、高額な薬価による事業性の高い希少疾患治療薬を創出するようになると、メガファーマを含む多くの製薬会社が希少疾患に取り組むようになった。その事業性以外の要因としては、製薬会社の治療手段であるモダリティが低分子化合物、ペプチド（中分子）薬、抗体医薬を含む蛋白質医薬、核酸医薬、細胞医薬、遺伝子治療と極めて多様になり遺伝性疾患に対してアプローチできるようになったことが挙げられる。本セミナーでは、希少疾患治療にブレイクスルーをもたらした酵素補充療法、アンチセンス核酸、アデノ随伴ウィルスベクターによる遺伝子治療について紹介する予定です。

担当：代謝エピジェネティクス分野 稲垣（8880）

Host：Laboratory of Epigenetics and Metabolism, IMCR, T. Inagaki（8880）