



リードファーマ株式会社  
代表取締役社長  
**和田 郁人**  
WADA Fumito

## 安全な核酸医薬で 循環器疾患を制す

### Message

私は大阪大学で核酸医薬を学び、国立循環器病研究センターで核酸医薬の開発を進め、さらに開発を加速するために当社を設立しました。



安全な核酸医薬で脂質異常症をはじめとする循環器疾患の制圧を目指します。

### 研究の背景・目的

核酸医薬は、これまでの創薬の主流であるタンパク質の機能の「阻害」のみならず、RNA機能の「修復」など、幅広い使い方が可能だ。さらにそれらは、遺伝子の配列から設計できるため、これまでの創薬より早く薬を生み出すことができる。

一方で、核酸を医薬に応用するには「安全性」の課題があり、その活用範囲はまだまだ限定的である。

我々は、この課題を解決する「核酸医薬の安全装置」（シーズン1）を開発し、脂質異常症治療薬（シーズン2）の開発に取り組んでいる。

### 期待される効果・応用分野

シーズン1：長期治療が必要となるような、より安全性が求められる疾患領域の治療の開発。既存核酸医薬の副作用を解消。

シーズン2：既存薬で十分に治療ができない高トリグリセリド血症、または原発性高カイロミクロン血症の治療。

# 研究内容

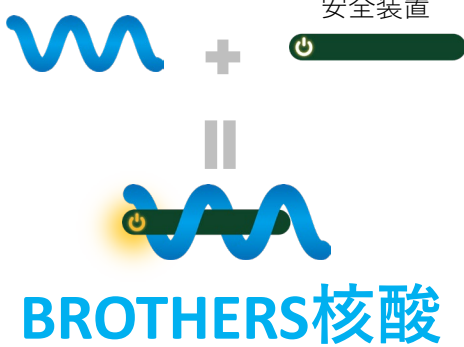
## シーズン1：核酸医薬の安全装置

# BROTHERS核酸

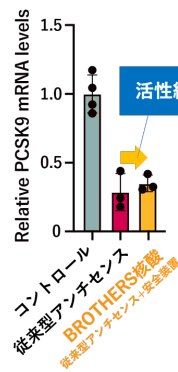
Brace on Therapeutic oligonucleotides



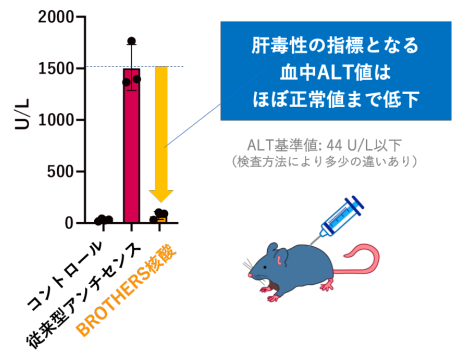
安全性に懸念がある 核酸医薬



標的mRNAの発現抑制効果



肝障害マーカー (血中ALT値)

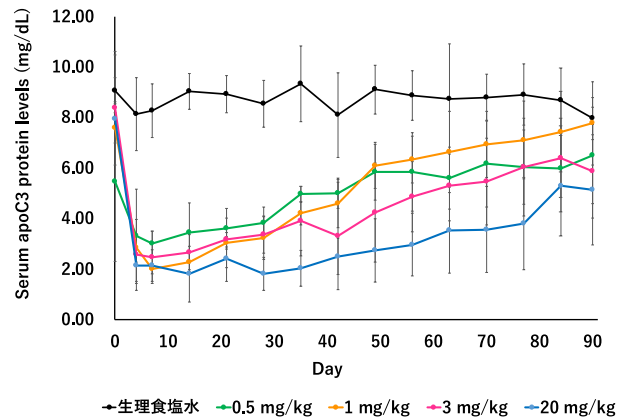


## シーズン2：原発性高カイロミクロン血症に対する核酸医薬

Apolipoprotein C-III (APOC3) に対する核酸医薬  
既存薬が効かず膵炎等の重大な合併症に苦しむ患者や、冠動脈疾患の高リスク患者が治療標的

- AMED橋渡し研究プログラム・シーズンFにより一部GLP試験完了
- 予備安全性の確認完了
- フェーズIまでの計画についてPMDA対面助言実施済み

サル単回投与試験  
-血中APOC3濃度-



## 特許・論文等

シーズン1：PCT/JP2022/036699  
シーズン2：PCT/JP2021/013106

## 産学連携本部より 企業の皆さまへ

国循発ベンチャー第1号として、核酸医薬の安全性を高める技術と、新規脂質異常症治療薬の開発に取り組んでいます。希少疾患から生活習慣病まで幅広い応用が期待される核酸医薬を対象とした共同研究開発にご興味のある企業との連携を求めています。

キーワード： 核酸医薬、脂質異常症、希少疾患