

核酸医薬のNeeds & Wants List

興味のある疾患	核酸医薬に適した疾患
対象	・創薬標的 ・創薬コンセプト ・創薬に活かせる技術
創薬標的	・核酸医薬に適した新規標的
創薬コンセプト	・RNAi、エクソンスキッピング、アプタマー、ヌクレアーゼによる切断（Gapmer）、発現増強核酸、もしくは、それに続く新たなコンセプト（未発表のものが望ましい）
関連技術	・核酸DDS技術 血中滞留性、組織特異性・指向性（特に骨格筋、中枢神経系）、細胞内移行性など動態特性を向上させる技術、核酸医薬品の経口投与を可能にする技術 ・修飾核酸技術 オリゴ核酸の新規修飾、新規骨格に関する技術（薬効向上、毒性軽減、動態改善が図れるもの）

2024年9月時点

遺伝子治療のNeeds & Wants List

興味のある疾患	in vivo遺伝子治療に適した疾患（がんウイルス療法を除く）
対象	・創薬シーズ ・創薬標的 ・創薬コンセプト ・創薬に活かせる技術
創薬シーズ	中枢神経疾患領域、もしくは筋疾患領域を対象とする遺伝子治療品目
創薬標的	・遺伝子治療に適した新規標的（特に中枢神経疾患領域）
創薬コンセプト	・欠損遺伝子補充、もしくはそれに続く新たなコンセプト
関連技術	・ AAVに関する技術 組織・細胞指向性改変カプシド、巨大遺伝子搭載技術など ・ AAV以外の技術 遺伝子治療に応用できるウイルスベクターあるいは非ウイルスベクター ・ 発現量を調節する技術 改変プロモーターなど - 他技術に対し優位性のあるものが望ましい

2024年9月時点