

2024年9月10日

各位

会社名 株式会社レナサイエンス  
代表者名 代表取締役社長 古田 圭佑  
(コード：4889 東証グロース)  
問合せ先 管理部  
(TEL. 022-727-5070)

国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED)  
スマートバイオ創薬等研究支援事業の採択のお知らせ

国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) の令和6年度「スマートバイオ創薬等研究支援事業」に申請していた「革新的核酸医薬技術を基盤とした神経・筋難病治療薬の開発」が採択されましたのでお知らせいたします (代表研究機関は国立大学法人大阪大学で、当社は分担研究機関として参画します)。

記

1. 採択事業について

事業名 : 令和6年度「スマートバイオ創薬等研究支援事業」  
研究課題名 : 革新的核酸医薬技術を基盤とした神経・筋難病治療薬の開発  
(研究開発代表者: 大阪大学 教授 小比賀 聡)  
研究開発期間 (予定) : 最大5年度 (令和6年度~令和10年度)  
令和6年度研究開発費 (予定) : 97,000 千円 (税込) (間接経費を含まない)

核酸医薬品は、従来の医薬品とは異なり疾病の原因遺伝子のmRNAなどに直接作用して薬効を発揮しますので、難病治療における「疾患修飾薬<sup>\*1</sup>」として期待されています。これまでに世界中で21品目の核酸医薬品が上市され、従来治療法が存在しなかった難病などの治療に貢献しています。疾患の原因遺伝子が特定されれば、他の創薬モダリティに比べて圧倒的に開発スピードが速いことも核酸医薬品の大きな利点です。

当社は、本事業で大阪大学や京都大学などの研究機関及び大阪大学発スタートアップ企業であるルクサナバイオテック株式会社とのオープンイノベーションに基づき、難病疾患である多系統萎縮症<sup>\*2</sup>・パーキンソン病<sup>\*3</sup>、筋ジストロフィー<sup>\*4</sup>を対象とするアンチセンス核酸<sup>\*5</sup>やアンチmiRNA核酸<sup>\*6</sup>の核酸医薬シーズについて、非臨床試験を実施し、製造プロセスを確立します。さらに、医師主導治験の枠組みやデザインを確定させ、臨床ステージアップにつなげることを目的とします。

2. 今後の見通し

本件による2025年3月期の業績予想の変更はありません。

以上

#### \*1 疾患修飾薬

病気の発症と深く関連する物質に直接作用して、発症や進行を制御する薬剤を疾患修飾薬といいます。

#### \*2 多系統萎縮症

自律神経や小脳などの神経細胞に変性をきたすことで多系統の神経機能が傷害され、様々な神経症状をきたす疾患です。指定難病に指定されています。

#### \*3 パーキンソン病

中脳の黒質と呼ばれる部位にあるドパミン神経細胞の障害によって発症する神経変性疾患です。振戦（ふるえ）、動作緩慢、筋強剛（筋固縮）、姿勢保持障害（転びやすいこと）を主な運動症状とします。指定難病に指定されています。

#### \*4 筋ジストロフィー

遺伝子変異によって筋肉に必要なタンパク質がうまくつくられなくなり、筋肉が徐々に弱くなっていく遺伝性の病気です。小児慢性特定疾患ならびに指定難病に指定されています。

#### \*5 アンチセンス核酸

標的とする核酸に相補的に結合して、その機能を阻害したり制御したりする1本鎖のDNAまたはRNAです。

#### \*6 アンチ miRNA 核酸

miRNA は、遺伝子の転写後発現調節に関与する 21-25 塩基長の 1 本鎖 RNA 分子です。アンチ miRNA 核酸は、標的とする miRNA と相補的に結合してその機能を阻害する人工核酸です。