

千里ライフサイエンス新適塾

「未来創薬への誘い」第74回会合

**たった一人の患者から始まる次世代創薬**  
**～核酸医薬によるN-of-1創薬～**

**講 師**：桑原 宏哉（くわはら ひろや） 先生  
東京科学大学 大学院医歯学総合研究科 脳神経病態学分野／  
国際医工共創研究院 核酸・ペプチド創薬治療研究センター 准教授

**日 時**：2026年7月28日（火） 講演会 18:00～19:15 【Hybrid】  
懇談会 19:15～20:15

**場 所**：千里ライフサイエンスセンタービル6階 千里ルームA  
（懇談会は同ビル5階 Port 5）

**定 員**：会場参加80名、WEB参加200名

**参加費**：講演会、懇談会とも無料

参加は事前申込みされた方（申込締切り7月23日）のみとし、定員になり次第締切ります。当財団のホームページの「参加申込」からお申込み下さい。

<https://www.senri-life.or.jp/event/5294/>

\*オンデマンド配信は予定しておりません。



参加申込

**コーディネーター**

小比賀 聡（大阪大学大学院薬学研究科 教授）

水口 裕之（大阪大学大学院薬学研究科 教授）

**主催**：公益財団法人 千里ライフサイエンス振興財団

〒560-0082 大阪府豊中市新千里東町1丁目4番2号

千里ライフサイエンスセンタービル20階

E-mail：tmp-2021@senri-life.or.jp Tel：06-6873-2006

<https://www.senri-life.or.jp>

## たった一人の患者から始まる次世代創薬

### ～ 核酸医薬による N-of-1 創薬 ～

桑原 宏哉（くわはら ひろや）

東京科学大学 大学院医歯学総合研究科 脳神経病態学分野（脳神経内科）／  
国際医工共創研究院 核酸・ペプチド創薬治療研究センター（TIDE） 准教授

#### 講演要旨

近年のゲノム解析技術の著しい進歩により、遺伝子異常が特定される超希少疾患が増えている。N-of-1 創薬（個別化創薬）は、特定の一人またはごく少人数（の場合を含めて N-of-1+創薬とも呼ばれる）の患者に合わせて薬剤を設計して製造し、安全性から有効性の評価までを一体的に実施するという、新しい創薬パラダイムである。治験における第 1 相から第 3 相試験に相当するプロセスを、単一患者で完結させる特徴がある。

患者数がきわめて少なく、採算性の観点から従来の企業主導による創薬が困難な超希少疾患に対しては、有効な創薬戦略が存在しない。しかし、遺伝子異常が特定され病態機序が明らかになった場合、アカデミア等による核酸医薬、遺伝子治療、ゲノム編集等を用いた N-of-1 創薬は、それらの超希少疾患の病態抑止をもたらし得る創薬戦略として、国内外で期待が増している。

世界では、米国を中心に先進的な取り組みがなされている。アンチセンス核酸の医薬品開発を牽引する Ionis Pharmaceuticals 社の創設者かつ前 CEO が立ち上げた米国の非営利団体の n-Lorem 財団は、患者ごとに設計・検証・製造したアンチセンス核酸を無償で提供しており、これまでに 50 名超の患者に対する投与実績を持つ。米国以外でも、核酸医薬による超希少疾患に対する N-of-1 創薬の機運が急速に高まっている。

我々は、超希少疾患に対する核酸医薬を用いた N-of-1 治療の国内実現を目指している。日本医療研究開発機構（AMED）の難治性疾患実用化研究事業において、東京科学大学の核酸・ペプチド創薬治療研究センター（TIDE）をハブとして、医療者・研究者・製薬企業・行政機関・患者団体が連携した、N-of-1 創薬の推進体制を構築している。そして実際に、患者数がきわめて少ないと想定されている超希少疾患の患者を対象として、アンチセンス核酸により治療する臨床試験の計画も進めている。

本講演では、世界の動向と我々の取り組みを紹介させていただき、超希少疾患に対する核酸医薬を用いた日本での N-of-1 創薬について、今後の展望を議論したい。

#### 参考文献

医学のあゆみ 296: 918–922, 2026

講師略歴：

学歴・職歴

- 2002年 東京医科歯科大学 医学部医学科 卒業
- 2002年 虎の門病院 内科病棟医（研修医）
- 2004年 東京医科歯科大学医学部附属病院 神経内科医員
- 2005年 横須賀共済病院 神経内科医員
- 2007年 東京医科歯科大学医学部附属病院 神経内科医員
- 2011年 東京医科歯科大学大学院 医歯学総合研究科 修了
- 2011年 東京都立墨東病院 神経内科医員
- 2013年 東京医科歯科大学大学院 脳神経病態学分野 特任助教
- 2018年 厚生労働省医政局研究開発振興課治験推進室／経済課ベンチャー等支援戦略室 室長補佐
- 2020年 東京医科歯科大学大学院 脳神経病態学分野 助教
- 2021年 東京医科歯科大学大学院 脳神経病態学分野／統合イノベーション機構 講師
- 2024年 東京科学大学大学院 脳神経病態学分野／核酸・ペプチド創薬治療研究センター 講師
- 2026年 東京科学大学大学院 脳神経病態学分野／核酸・ペプチド創薬治療研究センター 准教授

学位：博士（医学）（東京医科歯科大学）

受賞等：

- 2010年 第20回アンチセンスシンポジウム 学生講演賞（川原賞）
- 2015年 第7回CBIR+ONSA 共催若手インスパイアシンポジウム 最優秀賞
- 2015年 Mansfield-PhRMA Scholarship
- 2015年 第56回日本神経学会学術大会 最優秀口演賞
- 2018年 70th AAN Annual Meeting Abstract of Distinction Award
- 2018年 第36回日本神経治療学会学術集会 優秀演題賞
- 2024年 第28回日本神経感染症学会総会・学術大会 会長賞

所属学会・委員等：

- 日本内科学会
- 日本神経学会（評議員、将来構想委員会委員）
- 日本神経治療学会（評議員）
- 日本神経免疫学会
- 日本神経感染症学会
- 日本神経病理学会
- Neuro Muscular Conference（世話人）
- 日本神経科学学会
- 日本核酸医薬学会（評議員、臨床セッション幹事）
- American Academy of Neurology
- Oligonucleotide Therapeutics Society
- International Brain Barriers Society