

レギュラトリーサイエンス エキスパート研修会 専門コース(第302回)  
希少疾患に対する新規モダリティ創薬入門  
— 核酸医薬によるN-of-1+創薬の課題と展望 —

主催 一般財団法人医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス財団  
後援 日本製薬団体連合会 日本製薬工業協会 公益社団法人 東京医薬品工業協会  
関西医薬品協会 米国研究製薬工業協会(PhRMA) 一般社団法人 欧州製薬団体連合会(EFPIA Japan)  
日本ジェネリック製薬協会 日本OTC医薬品協会 一般社団法人 ARO協議会  
一般社団法人 日本CRO協会 日本CSO協会 公益財団法人 MR認定センター

## 日程

2025年4月18日(金)13:00～15:15 (Zoom入室開始予定12:45)

本研修はZoomを利用したwebinarです

## 研修会趣旨

近年、核酸医薬に関する技術革新により、被験者一人又は少数で治験を行う”N-of-1+創薬”が米国で始まり、欧米を中心に広がっています。”N-of-1+創薬”は治療法のない希少疾患に対する迅速な治療法開発の新しいアプローチとして注目されていますが、その導入には多くの課題が山積しています。製薬企業にとっても、関心は持ちつつも特にビジネス視点や個別化医療に関する開発・承認審査の点から着手を躊躇していることは否めません。しかし、既に診断がついて治療可能な希少疾患患者が多数存在し、国内でもゲノム医療推進法が成立した中で製薬企業としても前向きに取り組むべき時期にきていると思われ、そこで、今回は製薬企業の主に開発担当者を対象とし、核酸医薬創薬の現況に加え、課題や展望について幅広く学ぶことを目的とした入門的研修会を企画しました。

本研修会では、国内で唯一開発されたビルトラルセンを含む希少疾患を中心とした核酸医薬全般について紹介いただき、次いで核酸医薬と高い親和性を有する”N-of-1+創薬”の動向について解説いただきます。

本研修会の趣旨にご賛同いただき、多数の皆様にご参加いただきますようご案内申し上げます。

## 講演内容

13:00～13:05 挨拶

(一財)医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス財団

13:05～14:05 希少疾患を中心とした核酸医薬治療の概要

桑原 宏哉(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))

14:05～14:15 休憩

14:15～15:15 N-of-1核酸創薬研究の現状及び国内の課題と展望

中山 東城(東京科学大学大学院 総合研究院 核酸・ペプチド創薬治療研究(TIDE)センター)

\* 演題、講師、時間等一部変更する場合がありますので、予めご了承ください。

(敬称略)

## 申込み方法 受講希望の方は**注意事項**を確認の上、財団ホームページより申込み手続を行ってください

- ① ホームページ(<https://www.pmrj.jp>)研修会内「開催一覧」の研修会毎にある**申込** ボタンより、画面の案内に従って必要事項をご入力ください。
- ② 申込み後、受付番号及び入金方法を受講受付メールにてお知らせいたしますので、受講料をお振込みください。
- ③ 受講料振込みを確認後、入金確認メールをお送りいたします。
- ④ 開催の1～3日前にwebinarに関するメールをお送りいたします。研修会当日にはメールに記載のURLより、**webinarに入室してください。**

## 受講料(1名につき;消費税込)

法人賛助会員(1口につき4名までが法人賛助会員価格)-----	6,000円
個人賛助会員-----	6,000円
行政/アカデミア/医療機関/学生-----	3,000円
非会員-----	9,000円

## 注意事項

### 申込みについて

- ・申込み期限は、研修会開催日(複数日開催の場合は初日)の**4営業日前**です。
- ・受講されるご本人のメールアドレスでお申込みください。
- ・個人賛助会員として申込みの場合、ご本人の受講に限ります。
- ・申込み後に受講受付メールが届かない場合はご連絡ください。
- ・入金前のキャンセルは開催4営業日前までにご連絡ください。それ以降のキャンセルはできません。
- ・入金後のキャンセル、返金及び他研修会への振替はできません。

### 受講料振込みについて

- ・開催前日までにお振込みください。
- ・銀行振込の「ご依頼人欄」又は郵便振替の「通信欄」には受付番号・受講者氏名をご記入ください。
- ・以下に該当する方は、開催4営業日前までに①～⑥についてご連絡ください。
  - ・振込の際に受付番号・受講者氏名を記入出来ない方。
  - ・振込が開催4営業日前より遅くなる方。
- ①受付番号、②受講者氏名、③振込(予定)日、④振込先(みずほ銀行/ゆうちょ銀行)、⑤振込名義、⑥振込金額
- ・受講受付メールとは別に、クレジットカード決済手続きのご案内メールを送ります。  
クレジットカード決済ご希望の方は、記載のURLにアクセスし、お手続きください。
- ・入金確認メールをもってインボイスに代えさせていただきます。入金確認メールは研修会開催後になる場合があります。

### 研修会当日・受講について

- ・資料はPDFファイルとしての配布になります。印刷等をご自身でご対応ください。研修会前日までwebinar入室用URLとともにご連絡いたします。
- ・複数日程開催の場合、日ごとに受講者を変更することは認められません。
- ・**録画・録音・撮影、及び資料の二次利用は固くお断りいたします。**研修会内容の盗用が発覚次第、著作権・肖像権侵害として対処させていただくことがあります。

## 問合せ先



一般財団法人 医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス財団 研修担当  
〒150-0002 東京都渋谷区渋谷2-12-15 / Tel 03-3400-5644