

## フォーラム 2012 アンケート総括

日本薬物動態学会 第 27 年回（千葉）の最終日午後に「核酸医薬開発の現状と展望」をテーマに開催したフォーラム 2012 において聴講者にアンケート用紙（150 部）を配布し、64 名から回答を得た（回収率：43%、産業界 42、アカデミア；9 名、その他；13 名）、内 53 名から質問事項へのコメントを頂戴した。今後のフォーラム運営に活かすため 5 項目の質問に対するコメントを項目ごとに総括した。なお全コメントを整理し、本章末に添付した。

質問 1：核酸医薬品開発の課題について十分理解できたか。

基礎から実際の開発面、レギュラトリーまで広範な分野の現状と課題が浮き彫りになったとした肯定的な意見が多かった。総合討論にて個々の課題を改めて議論したことについても好評価を得た。

質問 2：核酸医薬品の今後の展望は明確になりましたか。

まだまだ発展途上の医薬品候補群であるが、既存医薬品で治療困難な疾患に有効な場合があり参加者は期待感を持てたようだ。ターゲット部位に送達させるための DDS 技術が課題との意見が複数寄せられた。一方、発展途上ということではいたしかたない面もあるが、規制面での遅れに対する危惧も寄せられた。

質問 3：今回の議論で欠けていた点等をご指摘ください。

薬物動態と密接に関連した議論が少なかったとの意見があった。その他、ヒト初回（FIH）投与量設定方法、費用対効果の査定、患者・一般人への安全性啓蒙、海外での状況紹介などを求める意見があった。開発が進んでいる海外企業や規制当局からの講演者を招聘する必要性があったかもしれない。また質問 1 と相反するが、テーマが広範すぎてピントがぼやけたとの意見も含まれた。

質問 4：今回のフォーラムに対してその他のご意見など

これまでの学会では通常得られない知識を解り易く得られたこと、具体的開発例が含まれていたこと、規制当局の取り組み状況も組み入れたこと、日本語であったことなど肯定的な評価・意見が得られた。短い時間で多くの情報が共有されたことから、スライドをホームページに公開してほしいとの意見があった。

質問 5：今後のフォーラムへの要望をお教えてください。

開催日程、言語、テーマ選定について多くの意見をいただいた。フォーラム 2012 はフォーラム開催では初めて「ラウンドテーブルディスカッション」と併行開催になった。医療薬剤師の参加や、他学会との共催可能性の面で、最終日午後の開催はメリットがあるが、年会期間中での開催日時を再度検討する必要性が指摘された。

フォーラムで先端分野を取り上げた場合など、数年後には別途、シンポジウムとして開催するなど、学会内でも連携し、発展的に取り組むことも重要ではないかと思われた。次年度フォーラム 2013 テーマについて、本フォーラムにて得られた意見を参考に、テーマを選定・企画し、多くの研究者が参加・活用できるフォーラムとなるとう、フォーラム委員会、委員会所属評議員が引き続き協力していく必要があると感じられた。

最後になりましたが、フォーラム 2012 に参加いただいた方、積極的に議論いただいた方、またアンケートにご協力いただきました多くの方に感謝申し上げます。

フォーラム委員会  
委員長 川合良成  
委員会一同

別添：アンケート個別回答

質問1：核酸医薬品開発の課題について十分理解できたか

★理解できた

- ・ DDS と毒性という核酸医薬の開発軸が理解できた。（学）
- ・ 幅広いテーマについての講演，議論があり参考になった。（学）
- ・ 一通りすべての観点からの話を総括的には理解できた。（学）
- ・ 十分ではないものの総合的なインフォメーションが得られた（産）
- ・ 各先生方が問題点を明確にしておき課題の理解できた。（産）
- ・ 基礎的な部分，実用面，レギュラトリーの話もあったのでイメージしやすかったです（産）。
- ・ 現状についてよくわかりました。（産）
- ・ 現状と課題についてよく理解できた。（産）
- ・ 現況の overview を得ることができました。（産）
- ・ 分かりやすかったです。（産）
- ・ 核酸医薬品の基本的な説明から，実際の開発や研究の内容まで理解することができ，よかったですと思います。（産）
- ・ 概要から実際の医薬品の開発例をふまえてのセッションで，とてもわかりやすかった。（他）

★課題の把握

- ・ 但し結局現状ではまだまだと理解しました。（産）
- ・ 非臨床試験をどう行うのか，それについて課題があるのか知りたいです。（学）
- ・ これからの課題としては安全性が大きいと感じました（産）
- ・ DDS は大きな問題となっており，今回紹介された技術（ナノ粒子など）を早期から多くの企業で広範に研究に使えるようになるとうい。オープンイノベーションの発展に期待したい（産）。
- ・ 薬動における定量に MS がメインになる為には感度が必要と思いました。（産）
- ・ 当局のガイドラインについて，日本がイニシアチブを取って欲しい。（産）

★フォーラムの印象

- ・ 紹介的なご発表（1）と実際の開発経過（2）の話が特に興味深かった。（学）
- ・ 現状については様々な観点から紹介していただきました。（産）
- ・ 個々の課題について総合討論で議論された。（産）

質問2：核酸医薬品の今後の展望は明確になりましたか。

★課題・展望の明確化（これからの分野）

- ・ どちらともいえない，期待したい気持ちはある。（学）
- ・ まだ様子をうかがいながらどこも慎重に進めていく必要がある。（産）
- ・ 未だこれからであることが明確になった。（産）
- ・ 今回の講演以外の問題点があると思いますので，まだまだこれからの分野だと思います

が、メーカーで開発する上できっかけになり得ると思いますので、新しい知見をオープンにしていだければと思います。（産）

- ・ コレからの展開が楽しみである。（学）
- ・ 各先生のお話の中で、それぞれの課題を知ることができました。（産）
- ・ 各講演者が共通に持つ未来像が伝わりました。（学）
- ・ 治療困難な疾患に有効であり、開発がうまくいけばかなり期待できることが分かった。（学）
- ・ 低分子医薬品、抗体医薬とより詳細な相違点について、効果、安全性、医療経費、疾患。（産）
- ・ 分析サイトの課題としては LC/MS/MS による定量分析の高感度化。（他）
- ・ 課題が多様で、一つの問題が解決されればよいという段階ではなさそう。それぞれの化合物ごとに考える必要がありそうだと感じた。（他）
- ・ 興味深い研究するためには特殊な構造（核酸、担体）が必要。（学）

#### ★DDS の重要性

- ・ DDS の改良が治療効果も安全性も向上させるのだろう。（学）
- ・ DDS がやはり重要になると思いました。（産）
- ・ PLGA ナノ粒子とか、DDS 問題の解決アイデアが示されつつある。（産）
- ・ DDS を含め思っている以上に実用レベルになっていることがわかりました。（RNA 分解酵素のカベが高くなるなか実用化するのが難しいイメージだったので）（産）
- ・ 分子投式よりデリバリーが重要であることが分かった。デリバリーだけでのより広い話を聞きたい。（産）
- ・ DDS や安全性評価等よく理解できた。（他）

#### ★規制・ガイドライン

- ・ ガイドライン等を含め、まだ手探り状態だということが分かりました。今後の動向に注目したいと思います。（産）
- ・ レギュレーションに関してはまだ追いついていない。（産）
- ・ 特に規制的な部分は問題点がわかった。（産）

#### ★フォーラムの印象

- ・ モデレーターの議論の方向付けのイニシアチブが明確で非常に演者の意見を引き出せていてよかったです。（学）
- ・ 明確とまではいかなかった。ただ、イメージは湧いたので実りあるフォーラムでした。（他）
- ・ 5名の先生の発表がストーリーになっており理解しやすかった。（産）
- ・ 結局具体的事例が出たときに case by case になる。（産）
- ・ 今日はじめて聞いて知った話なので具体的なイメージがまだできなかった。（産）

質問3：今回の議論でかけていた点等ご指摘ください。

## ★創薬段階

- ・ スクリーニングで行っている非臨床試験について (他)
- ・ 医薬品の創薬段階の話がなかった。(ターゲットをどうさがすか, 配列をどうするか, 問題点など) (他)

## ★薬物動態

- ・ 薬物動態としては, 核酸医薬の vivo での定性定量が欠けていたと思う。(学)
- ・ 薬物動態から見た効果, 輸送系, 遺伝子変異 (PK/PD/PGX) についての内容 (他)
- ・ もう少し薬物動態とからめた議論があるとよかった。(産)

## ★臨床関係・開発関係

- ・ 臨床 (開発) (産)
- ・ 臨床での更に深い知見 (毒性の出方など). 前臨床での予測性. (産)
- ・ 核酸医薬の FIH 初回投与量設定方法 (HED は核酸にも適用できるか, クリアランスのアニマルスケールアップはどうか) の話があるとよかった。(産)
- ・ 日本での具体例が少ない.
- ・ 核酸医薬品は高価であるとお話でしたが, 英 (NICE) や独では費用対効果の査定や保険適応などどのように評価されているか伺いたかったです。(産)
- ・ 学問的問題ではないが「死の谷」などコスト問題が大きな壁であることの重要性が分かった. しかし, 対策なども discuss して欲しかった。(学)
- ・ 1) 市場で成功するために一般の人が不安を持たないように安全性と, その仕組みを十分理解させる必要が出てくる. 2) 現在の噂との比較 (学)
- ・ drop-out している薬剤の理由等もう少し企業の説明が欲しい。(産)
- ・ CMC, 大量合成での工夫. (他)

## ★DDS

- ・ DDS が重要であることは繰り返されていたが, その後の展望・アイデアについても紹介していただければなおよかった。(産)
- ・ SiRNA のある場合やはり DDS とセットで開発されるものと思います. DDS に関する知見や, 細胞内さらに核への効率的な移行の戦略に関して最近の知見を伺いたかったと思います。(産)
- ・ 実用化の課題と対策 (産)

## ★改善提案

- ・ 全体の領域は非常に広範囲なので少し広すぎたために議論が disperse した印象を受けた. もう少し演者に統一の問題を示して, すべての立場から様々な答えを集めて議論することもありかも。(学)
- ・ 海外状況の詳細 (学)

## ★その他

- ・ 核酸医薬について知らないため, 欠けていたことについて分かりません。(学)

- ・ 広く網羅されていて特にありません。 (産)
- ・ 網羅されていたと思います。 (産)

質問4：今回のフォーラムに対してその他ご意見など
--------------------------

★フォーラムへの評価

- ・ 非常にタイムリーなよい企画でした。 (他)
- ・ F-2 のアンジェス MG の発表のように具体的な薬剤開発例があってわかりやすかった。 (他)
- ・ 遺伝子について詳しくないので、教科書レベルの説明があり分かりやすかった。 (学)
- ・ 討論が充実していて理解が深まった。 (学)
- ・ 今までになく「学」にとっても jssx であまり議論されない話題だったので新鮮でした。メインストリームのシンポである話題に異なる視点でのテーマ選びに今後も期待します。 (学)
- ・ 核酸医薬品の現状と問題が明確になりました。 (学)
- ・ 参考になりました。 (産)
- ・ PDMA の状況を含めてフォーラムを組んでいただいたのは良かった。 (産)
- ・ 専門外なので、要旨、質疑が英語ではなく良かった。 (産)
- ・ 大変参考になりました。ありがとうございました。 (産)
- ・ 今まで核酸医薬について知識がなかったので今回のフォーラムでかなりよく理解できてよかった。 (産)
- ・ 次世代医薬品について理解できてよかった。 (産)
- ・ まったくの素人でしたので基礎（コンセプト）から課題、今後の展望までよくわかりました。ありがとうございました。 (産)
- ・ 相補的に各演者が講演されよく理解できた。レギュラトリーについても組み入れられ医薬品開発の重要な一端を知ることができた。 (産)
- ・ 総合討論で全体像をとらえることができて有益でした。 (産)
- ・ 海外ベンチャーなどからの話があってもよいと思う。 (他)
- ・ 討論の時間が十分あって良かったです。 (他)
- ・ 一般的な話でわかりやすかったです。ヒトのデータがもっと見られたら良かったです。 (産)

★より詳しく知りたい

- ・ ほぼ網羅されていたがそれぞれが内容の割に時間が短くもう少しじっくりゆっくり聞きたかった。 (産)
- ・ 非会員に発表資料（スライド）を公開して欲しい。もちろん、公表データに限ってで構わない。ホームページなどで公開してもらえるとありがたい。 (産)
- ・ 核酸医薬は海外、国内ベンチャーなども呼んでシンポジウムでもいいかも。企業の発表が少ないと思う。企画としては良かったと思う。 (産)

- ・ このような分野のフォーラムをまた開いていただきたい。（産）

#### ★フォーラムの印象

- ・ 核酸医薬品の **overview** から規制までとてもよくまっていたと思います。（産）
- ・ この分野は続けて情報UPが欲しい。（産）
- ・ 双方向性が乏しい。人数が少ないのが課題。議論が難しすぎる部分が多い（産）。
- ・ フォーラムというカテゴリーにはならないと思うのですが薬効を初めてやる人のための初心者コース（勉強会）等があるといいです。Ex. ASMS 等は LC/MS のことを教えてくれるコースなどがあります。（学）
- ・ アンケートを活用して総括を待っています。（産）
- ・ 興味がある分野で話がわかりやすかった。（他）
- ・ 少し速くてメモをとりながら聞けなかった部分があったので、その点が気になりました。（他）

質問5：今後のフォーラムへの要望をお教えてください。

#### ★フォーラムの運営

- ・ 薬動学会の運営に関わる事かと思いますが、フォーラムを2日の午後に設定していただけたらよかったです。最終日は帰宅者も多いと思い、折角の貴重な講演を聞き逃しかねないと思いました。（他）
- ・ 引き続き J S S X のシンポジウムなどでメインに扱われないが注視していくべき分野を扱って頂きたいと思います。（産）
- ・ 薬物動態との関連付けを？より意識した内容で再度企画していただきたい。（産）
- ・ 日本語で（産）
- ・ 英語化（産）
- ・ 今後も続けていただきたいです。（他）

#### ★核酸関係

- ・ 今後も核酸医薬品に関する演題を継続的に取り上げていただきたいと思います。（産）
- ・ 申請案件が少ないと思いますので、今後も継続して行ってください。（産）
- ・ 核酸医薬品を継続してほしい。（他）

#### ★新規テーマ

- ・ 最先端のトピックに触れるフォーラムを期待しています。（学）
- ・ 各領域の薬開発の最新動向（学）
- ・ PD 予測からシステムバイオロジーの創薬への展開。動態研究が新薬の **selection** に積極的に役立った事例。（学）
- ・ アンメットニーズ（非臨床～、臨床～）（産）
- ・ **pharmacometrics** 関係。日本は特に遅れているのでこのあたりの紹介が必要では？公開市民講座にするのであれば身近な薬（ジェネリック、OTC）の話か、夢のある話、画期的な新薬の創出に関わるものが良いでしょう。（産）

- ・ 医薬品開発の根本を議論して欲しい. (産)
- ・ バイオマーカーについて企画してほしい. (産)
- ・ 製剤や分析に関わるテーマを取り組んで頂きたい. (産)
- ・ 抗体医薬 (産)
- ・ DDI のレギュレーション (他)
- ・ 勉強させていただきました. ありがとうございます. (産)