



## 序文：mRNA 医薬 —技術開発と求められる評価科学—

井上 貴雄\*

mRNA-based Therapeutics —Technology Development and Evaluation Science—  
Takao INOUE\*

新型コロナウイルス感染症（COVID-19）のワクチン開発においては、mRNA ワクチンが圧倒的な存在感を示し、その驚異的な開発スピードと予防効果で大きな注目を集めた。これにより、mRNA の医療応用が広く知られることとなり、感染症の予防のみならず、疾患の治療を目的とする mRNA を含めた「mRNA 医薬」が新規モダリティとして認知されるに至っている。

mRNA 医薬は目的とするタンパク質の遺伝子配列さえ分かれば、迅速かつ簡便に設計・製造できる点が特徴であり、一度開発のプラットフォーム（原薬の化学構造・配列デザイン・製造法、送達キャリアの構造・製剤化技術など）が確立すれば、配列を変えるだけで次なる mRNA 医薬を短期間に開発できるという利点を有する。また、開発プラットフォームが同一であれば、その品質特性、薬力学的特性、薬物動態特性、安全性プロファイルなどを比較的容易に予測・評価できるという特徴がある。これらの mRNA 医薬の優位性は、新興・再興感染症に対する予防ワクチンの緊急開発やウイルス変異株への柔軟な対応、あるいは、がん治療用 mRNA ワクチンに代表される個別化医療などに適した特性であり、現代のアンメットメディカルニーズに対応可能な有望なモダリティと捉えることができる。

以上のように、にわかに注目を集めることとなった mRNA 医薬であるが、国内では COVID-19 パン

デミック以前より mRNA 医薬の規制整備に向けた活動を開始しており、本誌の 2019 年 5 月号及び 6 月号において、mRNA 医薬の開発動向や品質・安全性評価の考え方を先駆けて発信してきた経緯がある（当時の臨床開発品は約 20 品目）。これらの文献は、COVID-19 ワクチンの臨床開発が本格化した 2020 年半ばから注目されることとなり、ファイザー社及びモデルナ社の mRNA ワクチンを受け入れる際に、貴重かつ有用な文献として多方面で活用されてきた。そして 2023 年 5 月現在、mRNA 医薬の臨床開発品は既承認品目を含めると 100 品目以上に急増しており、国内における mRNA 医薬の研究開発も活発化している。この間、mRNA 医薬に関連する技術開発は大きく進展しており、これに伴い、評価科学に関する知見も増加している。

以上の背景を踏まえ、本号では COVID-19 パンデミックを挟んだ約 4 年間における mRNA 医薬の進展を俯瞰するため、「mRNA 医薬 —技術開発と求められる評価科学—」をテーマとする特集を企画した。mRNA 創業の第一線で活躍される先生方に技術開発の最新動向を解説していただくとともに、「mRNA 医薬に求められる評価科学」に関連する知見を整理し、考察を加えていただいた。本特集が mRNA 医薬の理解と開発促進の一助となれば幸いである。

\* 国立医薬品食品衛生研究所 神奈川県川崎市川崎区殿町 3-25-26 (〒210-9501)

National Institute of Health Sciences, 3-25-26 Tonomachi, Kawasaki-ku, Kawasaki-shi, Kanagawa 210-9501, Japan