特集 mRNA医薬　―技術開発と求められる評価科学―

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創薬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

本誌掲載記事の無断転載・翻訳を禁止します．また，無断複写・複製は著作権法上の例外を除き禁止されています．