

## 事業目的

世界には約8,000種類の遺伝性の病気があり、その約95%には承認された治療法がありません。遺伝子治療の技術は大きく進歩しましたが、患者さんの数が極めて少ない「超希少疾患」では、1つの病気ごとに多額の費用をかけて開発する従来のやり方では採算が合わず、薬が患者さんに届きません。本事業は、この構造的な課題を解決すべく、超希少疾患の患者さんにも遺伝子医薬を持続的に届けられる事業の仕組みをつくることを目的とします。

## 事業内容

共同研究先の自治医科大学が開発し、医師主導治験まで到達したAAV遺伝子治療技術(脳・脊髄へ効率よく薬を届ける投与技術)を土台に、標的となる遺伝子を入れ替えるだけで複数の病気に展開できる「共通プラットフォーム」を構築します。

事業期間中は、臨床試験実施に向けた規制戦略(米国FDAとの協議)、製造(CMC)・コストモデル、患者データ基盤(RWD)、知財戦略、市場性評価など7つの検証項目(PoC)を実施し、この仕組みが事業として成り立つことを確かめます。

## 事業成果

## 事業者情報

N-of-One Pharmaceuticals株式会社

所在地: 東京都中央区

設立年: 2026年

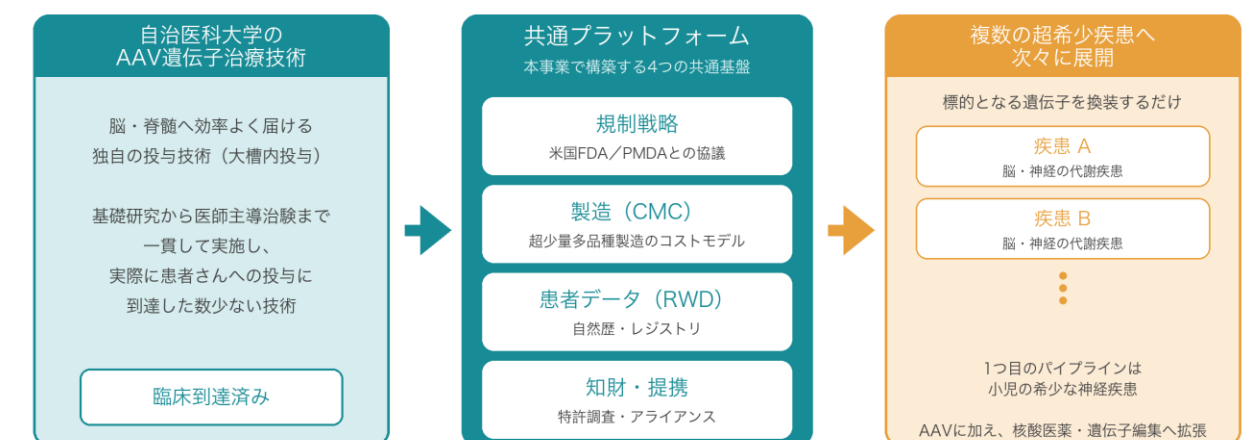
HP: 未作成

代表: 齋藤 良行



## 概要図等

標的遺伝子を入れ替えるだけで、複数の超希少疾患に展開できる「共通プラットフォーム」



従来: 1つの病気ごとにゼロから開発 → 本事業: 共通基盤の上で次の病気へ横展開

目標: 次のパイプラインの開発期間を60%以上短縮、製造原価を30%削減、投与量を全身投与の1/10～1/100に

すべての患者に“治る”技術を持続的に届けられることを目指す