

2026 年 8 月 3 日

各 位

会 社 名 株式会社 Veritas In Silico

代表者名 代表取締役社長 中村 慎吾
(コード番号：130A 東証グロース市場)

問合せ先 執行役員 経営企画部長

郷田 恒雄

Email: ir@veritasinsilico.com

lncRNA 標的核酸医薬品に関する特許共同出願のお知らせ

当社では、2025 年 7 月 3 日付『[三菱ガス化学との核酸医薬の創出及び製造方法確立を目的とする共同研究契約締結のお知らせ](#)』でお知らせした、三菱ガス化学株式会社様との核酸医薬品（アンチセンス核酸：ASO*¹）に関する共同研究（以下「本件共同研究」と表記）を進めております。

このたび、本件共同研究が進捗し、lncRNA*² を標的とする新たな医薬品候補物質について、三菱ガス化学株式会社様と共同で物質特許を出願いたしましたので、以下お知らせします。

- 発明の名称：核酸医薬とその使用
- 出 願 番 号：特願 2026-179989
- 出 願 人：株式会社 Veritas In Silico、三菱ガス化学株式会社
- 遺 伝 子 名：lncRNA H19
- 対 象 疾 患：lncRNA H19 が関与するがん
- 新 規 性：ファーストインクラス（既存薬無し）
- モダリティ：核酸医薬品（アンチセンス核酸：ASO）
- 想定開発期間：8～10 年（開発スケジュールは今後詳細決定予定です）
- 開 発 戦 略：一定の患者数がある lncRNA H19 が関与するがん患者さまを対象に、パートナーリングも視野にいれながら、比較的小規模の臨床試験による承認を目指します。承認取得後、適応追加やグローバル展開を進めます。

当社は、mRNA 標的創薬を可能とする当社独自開発の創薬プラットフォーム aibVIS*³ を活用し、医薬品市場にて最大のセグメントである低分子医薬品の創出をパートナー企

業と取り組むと同時に、成長性が最も高いセグメントと期待される核酸医薬品にも自社創薬による研究開発に取り組んでおります。これは mRNA 標的的低分子医薬品を探索しつつ、アンメット・メディカル・ニーズが存在する希少疾患には、適切なモダリティである核酸医薬品で応えていこう、との当社の成長戦略に基づくものです。また当社の持つ技術が、低分子創薬、核酸医薬創薬のどちらにも適用可能という長所を活かし、他社との差別化を一層図っていこう、との事業戦略でもあります。

核酸医薬品は通常、mRNA を標的とするところですが、本件共同研究においては、より幅広い治療効果が期待できるよう、lncRNA を標的と決めました。lncRNA は、これまで主な創薬標的とされてきたタンパク質や mRNA とは異なる性質を有する標的分子で、遺伝子の働きを細かく調節する役割を持っています。この lncRNA の異常な働きを特定し、その働きを抑えたり、逆に強めたりする新しいタイプの治療薬の創出が期待されています。本件共同研究においては、当社の技術が mRNA と同様に、lncRNA も標的にできることを示せたことは、今後、当社が貢献できる創薬の領域を大きく広げるものと考えられます。

対象遺伝子とした H19 は、タンパク質をコードしない lncRNA の一つとして知られています。H19 は胚発生中に高発現し、がん細胞の増殖や浸潤、転移、治療抵抗性に関与することが報告されています。したがって、H19 を標的とした核酸医薬品により、腫瘍の進行抑制や既存治療との併用効果が期待されます。また、正常細胞での発現が極めて低いことから核酸医薬品の創出対象として有望と考えられます。

これまでに、当社は独自に核酸医薬品の物質特許を複数取得・申請しておりますが、H19 に対しても当社が持つ最新の知見や技術を応用する形で改良を加え、複雑な化学修飾を必要としないながらも高活性の核酸医薬品（アンチセンス核酸：ASO）の創出に成功し、このたびの特許申請となりました。なお、今回特許申請した核酸医薬品は、当社が 2027 年度の製造販売開始を目指している、独自開発のドラッグデリバリーシステム^{*4}「Perfusio（パーフュージオ：2025 年 12 月に特許取得済）」との組み合わせにより、将来的には、従来よりも高い薬効を得ながら副作用の低減が期待できる治療方法の実現につながる可能性があります。

本件共同研究においては、QbD^{*5}の観点から研究初期段階から採り入れ、創薬研究と並行して ASO の製造方法・工程の開発を進めることにより、高活性・低毒性であるとともに、商業製造の際に品質と信頼性、適切なコストを達成できる核酸医薬品を創出し、また早期の製造方法の確立や、迅速な臨床試験への進展を目指します。

● 今後の業績に与える影響

今回の特許出願は、当社の成長戦略にて KPI に設定している「自社パイプライン創出（2026 年度分）」の達成にあたります。

今後、開発期間中（8～10 年を想定）、創薬研究の進捗に応じて研究開発費の支出を予定しております。このうち 2026 年 12 月期の支出については、2026 年 2 月 12 日付でお知らせした業績予想に織り込まれており、その予想値に変更は生じない見込です。
なお今後、開示すべき事項が生じた場合には、速やかにお知らせいたします。

【用語解説】

- *¹ ASO : **Antisense Oligonucleotide** の略 / アンチセンスオリゴヌクレオチド
核酸医薬品の一種で、標的とする mRNA と結合して、タンパク質の生成を阻害したり、mRNA の分解を促進する働きを持つ物質です。
- *² lncRNA : **long non-coding RNA** の略。タンパク質を作る情報を持たない RNA のうち、比較的長い塩基数を持つもので、細胞の中で遺伝子の働きを調節したり、細胞の増殖や分化、がん化に関わったりすることが知られています。近年、特定の lncRNA が疾患の発症や進行に関与することが明らかになり、創薬標的としても注目されています。
- *³ aibVIS : mRNA 標的創薬に必要となる全てのデジタル技術及び創薬技術を統合させた VIS 独自の創薬プラットフォーム。これまでの創薬プラットフォーム ibVIS[®] に実装されていた複数の機能特化型 AI（人工知能）それぞれの発展・機能強化を図りバージョンアップを行いました。aibVIS では、AI やスーパーコンピュータ「富岳」などを駆使した構造解析を行っております。
- *⁴ ドラッグデリバリーシステム : 医薬品の有効成分を治療対象となる標的（主として臓器）に届けるためのシステムです。通常は医薬品に標的臓器に選択的に到達するような分子を化学的に付加したり、薬物を脂質の二重膜で包む手法が使われます。当社では、動脈側カテーテルで対象臓器にアプローチし、物理的に医薬品を届け、さらに静脈側カテーテルで医薬品を抜き取ることで、医薬品側に工夫をすることなく医薬品を対象臓器に届け全身に回らせないドラッグデリバリーシステムとしています。
- *⁵ QbD : **Quality by Design** の略。製品設計時から製造した際に品質を担保できることを考慮に入れるという考え方です。

【お問合せ先】

- 三菱ガス化学株式会社 核酸医薬品原薬 CRDMO サービス（AXELPHEXTM）特設サイト : <https://axelphex.com/ja/>
- Veritas In Silico ウェブサイト お問い合わせフォーム : <https://www.veritasinsilico.com/contact/>