Veritas In Silico

2026 年 11 月 16 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

筋萎縮性側索硬化症（ALS）の治療に向けた新たな核酸医薬品に関する特許権利化のお知らせ

東京慈恵会医科大学 総合医科学研究センター 再生医学研究部（東京都港区、教授 岡野ジェイムス洋尚）と株式会社 Veritas In Silico（本社：東京都品川区、代表者：代表取締役社長 中村 慎吾、以下「VIS」と表記）は、筋萎縮性側索硬化症（以下、「ALS」と表記）の新規治療法の開発について共同研究（以下「本研究」と表記）を行っております。その研究成果として取得された核酸医薬品に関する物質特許の公開について、2026 年 1 月 19 日付『東京慈恵会医科大学と Veritas In Silico、筋萎縮性側索硬化症（ALS）の治療に向けた新たな核酸医薬品に関する特許公開のお知らせ』でお知らせしておりましたが、このたび、その物質特許について査定を経て、日本国内で権利化されましたので、以下お知らせします。

- **特　許　名**：核酸医薬とその使用
- **出 願 番 号**：特願 2025-575964
- **国際出願番号**：PCT/JP2025/025230
- **遺 伝 子 名**：TDP-43 MP13
- **対 象 疾 患**：筋萎縮性側索硬化症（ALS）
- **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
- **患　者　数**：世界で約 30 万人、日本国内で約 1 万人
- **今後の開発方針**：今後模索するパートナー企業での臨床開発を想定

本研究の対象である ALS は、筋肉を動かすための脳や脊髄にある運動ニューロンが障害を受け、手足・のど・舌の筋肉や呼吸に必要な筋肉が徐々に動かなくなる病気です。一般的に症状の進行が速く、発症から 2～5 年で死に至る症例が多い難病です。ALS は 40 歳代以降での発症例が多く、60～70 歳代の患者さまが一番多いとされますが、若年での発症例も報告されています。患者数は、世界で約 30 万人、日本国内で約 1 万人、患者さまの男女比

は、男性患者が女性患者の約 1.3～1.5 倍多い傾向にあります。多くの場合、ALS は遺伝しませんが、症例全体の約 5%で家族内での遺伝性の発症がみられます。また、しばしば ALS と合併する前頭側頭型認知症(frontotemporal dementia; 以下「FTD」と表記) には、ALS と遺伝的、臨床的、病理学的な共通性を持つ症例が存在し、ALS と病因・病態が共通する疾患スペクトラムを形成していると考えられています。

これまでの研究により多くの ALS 原因遺伝子が発見されており、ほとんどの ALS 症例で、細胞の核内に存在する RNA/DNA 結合タンパク質 TDP-43[*1] の病理学的異常が検出されています。近年の研究により ALS の病因・病態に、TDP-43 が深く関与することが示され、ALS 患者において TDP-43 の機能が低下していること、TDP-43 自体の多寡ではなくその質、すなわち TDP-43 と抑制性 TDP-43 バリアント[*2] のバランスが崩れることが ALS である可能性が報告され始めています。

現在もなお継続中の本研究を踏まえて、脳や脊髄に発現する抑制性 TDP-43 バリアントを核酸医薬品により減少させることによって、TDP-43 の機能を正常化することが ALS の新たな治療戦略になりうるものと考えております。

● 今回の特許権利化について

ALS の発症に、抑制性 TDP-43 バリアントが強くかかわっている可能性が示されたことから、抑制性 TDP-43 バリアントを減少させて TDP-43 の質を向上させる治療戦略が期待されます。その詳細については 2025 年 10 月に学術論文として発表しております（論文の詳細は次項ご参照)。VIS はこの論文発表と並行して、AI 創薬プラットフォーム aibVIS を活用した創薬研究を進め、抑制性 TDP-43 バリアントをノックダウンする核酸医薬品を２種、設計・最適化いたしました。そのうえで、VIS はその２種の核酸医薬品の権利を東京慈恵会医科大学より譲り受けて特許出願人となりました。その２種の核酸医薬品に関する物質特許のうち１つについての審査手続が進捗し、このたびの日本国内での権利化に至りました。

● 本研究に関連する論文の誌名、タイトル並びに著者

掲載誌名｜Journal of Cell Biology
論文タイトル｜Dominant-negative isoform of TDP-43 is regulated by ALS-linked RNA-binding proteins
著者｜Minami Hasegawa-Ogawa, Asako Onda-Ohto, Takumasa Nakajo, Arisa Funabashi, Ayane Ohya, Ryota Yazaki, and Hirotaka James Okano
著者（日本語表記）長谷川（小川）実奈美、恩田（大戸）亜沙子、中條拓政、船橋ありさ、大屋絢音、矢﨑亮太、岡野ジェイムス洋尚（責任著者）

● 本研究における役割分担等

ALS は、患者数が多いものの根本的な治療方法が見つからない難病一つで、その治療法を開発することは医療界の永年の課題とされています。

東京慈恵会医科大学は、長年にわたり ALS の研究に取り組んでおり、特にヒト iPS 細胞モデルの解析、病理切片を用いた解析などの医学的視点より ALS の病態メカニズムや原因遺伝子に関する多くの知見を有しています。VIS は、2017 年より ALS 治療法の開発に貢献すべく東京慈恵会医科大学と連携協力し、病態に関与すると予測される遺伝子に対する核酸医薬品の設計を担当いたしました。

本研究は、東京慈恵会医科大学側の研究初期段階より、バイオテク企業である VIS が伴走する形で進められました。これは、疾患の病態メカニズム解明と医薬品創出に向けた研究を志向するアカデミアと、その治療に用いる医薬品の性能を十分高め最適化したいバイオテクとのシナジーによって、効果的・効率的に医薬品創出が期待できる手法です。

本研究において、東京慈恵会医科大学は、当該評価系を用いた医薬品の薬効評価および、ヒト iPS 細胞あるいは当該動物モデルを用いた治療コンセプトの検証を分担しており、VIS は、治療コンセプトの概念実証に用いる医薬品候補物質のデザインと合成ならびに in vitro 評価*3 を分担しております。

● 東京慈恵会医科大学 総合医科学研究センター 再生医学研究部教授
岡野ジェイムス洋尚　コメント

ALS は、いまだ根本的な治療法が確立されていない難病です。今回、私たちの病態研究をもとに創出された核酸医薬品が特許として権利化されたことは、新たな治療法の実現に向けた一歩として、大変喜ばしく思います。

今後も Veritas In Silico との共同研究を通じて、ALS に苦しむ患者さま方に新たな治療の可能性を届けられるよう、研究を進めてまいりたいと考えています。

● VIS 執行役員 研究戦略部長 佐々木潤 コメント

本研究においては、アカデミアでの先進的な研究と並行して VIS が核酸医薬品研究に取り組むという、ユニークな試みを進めてまいりました。

今回の特許権利化を契機に、引き続き東京慈恵会医科大学の先生方と連携して研究を進めるとともに、開発パートナーとなる企業との協業を模索し、将来の臨床開発、さらには患者さんへの提供につなげていきたいと考えております。

● 当社の財政状態や経営成績への影響

本研究にともなう研究費用は、東京慈恵会医科大学、VIS それぞれが自己負担し、金銭等の授受は予定しておりません。VIS の 2026 年 12 月期の年度予算には、本研究に要する研究費用を織り込み済のため、2026 年 11 月 11 日付でお知らせした 2026 年 12 月期の業績予想に変更はありません。

なお、このたび権利化した特許の権利は VIS が保有しており、今後の研究開発および事業化の進展に伴い、中長期的に当社の適正な企業価値向上に寄与するものと見込んでおります。

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。

（ご参考）**用 語 解 説**

*1 TDP-43： TAR DNA-binding protein 43；正常時には細胞の核内に存在する RNA/DNA 結合タンパク質ですが、筋萎縮性側索硬化症（ALS）や前頭側頭型認知症（FTD）などの神経変性疾患で異常化し、細胞質に漏れ出して凝集体を形成することがわかっています。

*2 **バリアント**：単一の遺伝子や遺伝子ファミリーから作られる、アミノ酸配列や構造が少し異なったタンパク質のバリエーションのことです。

*3 in vitro **評価**：生体由来の細胞や組織を用いて、培養器や試験管内などの人工的な環境で行う評価方法です。動物体内で行う試験（in vivo 試験）の代替法として、動物愛護の観点や、短期間かつ低コストで特定の作用機序の解明や候補化合物のスクリーニングを行う際に用いられます。

以 上

［お問合せ先］

● Veritas In Silico ウェブサイト お問い合わせフォーム：https://www.veritasinsilico.com/contact/