

アルナイラム参画の希少疾患情報コミュニティSTEPのウェブサイトが公開

- 希少・難治性疾患関係者の『知りたい』に応える情報ポータルサイト『STEP LEARNING』-
- アルナイラムは「研究開発 RNAi の科学」をコンテンツとして提供-

Alnylam Japan 株式会社(本社:東京都千代田区、代表取締役社長 岡田裕、以下「アルナイラム」)は、希少・難治性疾患に対する創薬、および認知・理解促進に取り組んでいます。当社が参画する、特定非営利活動法人 ASrid が設立した希少疾患情報コミュニティSTEPにおいて、希少・難治性疾患関係者の『知りたい』に応える情報ポータルサイト『STEP LEARNING』が本日公開されました。当社は『STEP LEARNING』のコンテンツの一つとして、RNAi を応用した治療薬の特徴を動画やアニメーションを通して学ぶことができる「[研究開発 RNAi の科学](#)」を提供開始しましたので、お知らせします。

希少・難治性疾患領域には患者さんやそのご家族をはじめとして多くのステークホルダーが存在し、様々な情報発信をそれぞれが行っています。多種多様な情報発信は有益であるものの、患者さんが適切に受け取れるかが課題と言えます。疾患により、患者会の有無や研究者の関心度、医薬品開発状況の違いなどによって差が存在している中、「適切な関係者から得た正しい情報を多角度から発信し、患者・家族をはじめとしたステークホルダーの『知りたい』に応える」ことを目的として、ASrid によって STEP (Strategic Translational Action for Empowering Patients) が 2021 年 12 月に設立されました。当社はこの趣旨に賛同し、立ち上げ時より参画しています。

この度公開された情報ポータルサイト『STEP LEARNING』は、希少・難治性疾患領域の「知識」「情報」を学ぶための入り口となるものです。患者さん・ご家族をはじめ関係者の関心に多角度から応えられるよう、すべての疾患領域に対して横断的に関連する 7 つのトピックについて取り上げています。当社が提供するコンテンツ「[研究開発 RNAi の科学](#)」は、「ゲノム(遺伝子)」カテゴリの中で紹介されています。

- **希少・難治性疾患全般**: 希少・難治性疾患全般に関するトピックや組織を紹介
- **ゲノム(遺伝子)**: ゲノムや遺伝子の基本的な知識や応用的な知識を学ぶためのコンテンツを紹介
- **臨床試験/治験**: 臨床試験・治験の理解を深めるためのコンテンツや、臨床試験・治験の実施状況・結果の検索サイトを紹介
- **くすり**: くすりの使い方や、個別の医薬品の便利な検索サイト、医薬品研究に利活用されている科学技術について紹介
- **法律/政策**: 希少・難治性疾患領域の医薬品開発や当事者の医療・生活をとりまく法律や政策を学ぶためのコンテンツを紹介
- **社会福祉**: 患者当事者・家族が利用できる可能性のある社会福祉サービスについてのコンテンツを紹介
- **患者協働/PPI**: 患者当事者・家族の声を活かすための患者協働/PPI (Patient and Public Involvement) に関するコンテンツを紹介

各トピックに掲載されるコンテンツは、患者さん・ご家族(患者会)、医療従事者、企業、行政等すべてのステークホルダーが提供する情報が収集され、監修者との連携を図りながら掲載内容を精査した上で発信され、有益な情報のエントランス(入り口)としての役割を持ちます。『STEP LEARNING』は、自然科学研究機構 研究力強化推進本部特任教授の小泉 周 氏(医学博士)によって監修されています。

アルナイラムのメディカルアフェアーズ部ペイシエントアドボカシー&エンゲイジメントの三浦愛子は、「立ち上げ時より参画してきた希少疾患情報コミュニティ STEP の 情報ポータルサイト『STEP LEARNING』がオープンし、また、当社が注力する RNAi の研究開発に関するコンテンツが紹介されることとなり、嬉しく思います。アルナイラムは、患者さんが日常生活や医療を受ける場において望ましい行動を選択でき、自分らしく生きることができるよう、正しく分かりやすい情報の公開やアクセスの向上を今後も支援していきます」と述べています。

特定非営利活動法人 ASrid について

ASrid は、希少・難治性疾患分野の患者・家族や様々な関係者を“中間機関”としてつなぐことを目的とした NPO 法人です。「To Patients, For Patients, Beside Patients」をスローガンに掲げ、疾患に対する研究実施や支援、疾患横断的な国際連携の推進活動や社会啓発イベント開催まで幅広く行っています。また、患者・家族・患者会／協議会といった当事者・関係者やこの領域の医療者・研究者・企業・行政等と協働しています。

STEP について

STEP は“Strategic Translational Action for Empowering Patients”の略語です。STEP では「患者当事者・家族が自らの力を発揮するための戦略的な橋渡しを実施する」ことを目指します。具体的には、STEP ウェブサイトを通じた情報発信や、ニーズに応じた講演会の開催などを展開することで、1) 疾患領域視点、2) 目的ごとの横断的視点、という 2 つの軸(グループ)から、患者当事者・家族をはじめとして関係者を Empowering していく(力をつけ、自信をつけていく)ことに貢献していきます。詳細は ASrid の 2021 年 12 月 24 日付プレスリリース(<https://asrid.org/>)をご参照ください。

Alnylam Japan 株式会社について

Alnylam Japan 株式会社(<https://www.alnylam.jp/>)は、次世代の医薬品として注目される核酸医薬の一つである RNAi 治療薬を日本の患者さんに提供するため、2018 年 7 月に設立されました。RNAi 治療薬は、従来はターゲットにできなかった標的分子に選択的に作用することで、これまで治療が困難だった疾患の新たな治療選択肢となる可能性があります。RNAi 技術を応用して、mRNA を標的として開発された世界初の siRNA 製剤オンパットロは、当社が日本国内で 2019 年に上市・販売した最初の製品です。2021 年には、2 成分目となる siRNA 製剤ギブラーリを上市・販売しています。当社は、医療の未来を切り拓く可能性のある新しい治療薬の開発に取り組み、アンメットニーズの解消に貢献することを目指しています。

RNAi について

RNAi (RNA interference :RNA 干渉)は、遺伝子発現抑制(サイレンシング)という細胞内の自然なプロセスであり、現在、生物学と創薬において最も期待され急速に進歩している最先端領域の一つです。RNAi の発見は「10 年に 1 度の画期的な科学の前進」とされ、その功績に対して 2006 年にはノーベル生理学・医学賞が贈られています。RNAi 治療薬は、細胞内で生じるこの自然な生物学的プロセスを利用した新しい作用機序を持つ薬剤として誕生しました。RNAi の作用機序は、アルナイラムの RNAi 治療薬のプラットフォームである siRNA (small interfering RNA: 低分子干渉 RNA) が、疾患に関与するタンパク質をコードするメッセンジャーRNA (mRNA) の発現を抑制(サイレンシング)することで、そのタンパク質の産生を阻害するというものです。RNAi 治療薬は、遺伝子疾患などの治療法を変える可能性が示唆されている新たなアプローチです。

Alynlyam Pharmaceuticals 社について

Alynlyam Pharmaceuticals 社(Nasdaq:ALNY)は、RNAi 技術を、遺伝性希少疾患、循環器・代謝系疾患、肝感染症、および中枢神経系・眼科疾患の患者さんの治療や生活の質を改善することが期待される医薬品に応用するリーディングカンパニーです。RNAi 治療薬はノーベル賞を受賞した科学に基づいており、アンメットニーズの高い難治性疾患を臨床的に実証されたアプローチで治療します。当社は、2002年の設立以来、RNAi 治療プラットフォームにより、科学的可能性を現実のものにするというビジョンを実現しています。当社の製品である RNAi 治療薬は、「オンパットロ®」(パチシランナトリウム)、「ギブラーリ®」(ギボシランナトリウム)、lumasiran (国内未承認)のほか、アルナイラム社のパートナーであるノバルティス社によって開発と商業化が行われている inclisiran (国内未承認)があります。当社は、開発後期段階にある 6 つの製品候補を含む、充実したパイプラインを有しています。今後も引き続き、希少疾患と一般的な疾患の両方に対して変革をもたらす治療薬を生み出すことを目標とした「アルナイラム P5x25」戦略を遂行し、持続可能なイノベーションと優れた財務実績を通して世界中の患者さんに貢献し、その結果としてバイオ医薬品のリーディングカンパニーとして認知されることを目指します。当社はマサチューセッツ州ケンブリッジに本社を置きます。詳細は、弊社ウェブサイト www.alnylam.com、Twitter [@Alnylam](https://twitter.com/Alnylam)、または [LinkedIn](#)、[Instagram](#) でご覧ください。

###

本プレスリリースに関する問い合わせ先:

Alynlyam Japan 株式会社

TEL: 03-6629-6180

Mail: press@alnylam.com