

核酸医薬品開発

工学研究科 生命先端工学専攻

教授 渡邊 肇



▶ 特徴・独自性

核酸医薬は化学合成が可能であることから低分子医薬品と抗体医薬の利点を併せ持つ。従来の医薬品が狙えない標的分子が創薬ターゲットとすることができ、抗体医薬に続く「次世代分子標的薬」として期待されている。

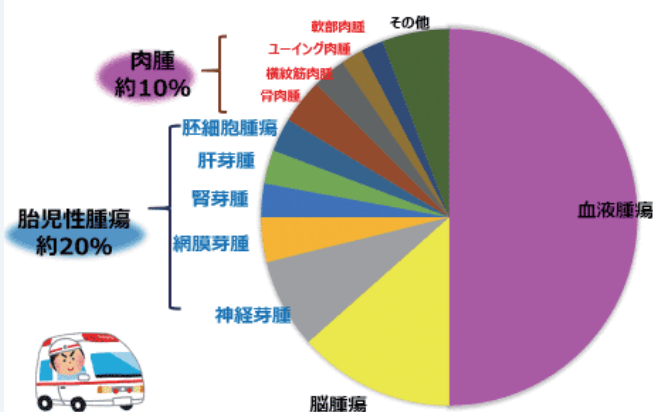
渡邊研究室では新規メカニズムによる低毒性医薬品の開発に取り組み、これまでに1) 遺伝子融合で生じるキメラ遺伝子の発現を特異的に抑制できる技術 Dual Lock 法の開発 (特許出願済)、2) 薬物毒性の低減を実現した新規のアンチセンスオリゴ核酸 (ASO) 設計法 (poly(A) 鎖付加部位をまたいだ ASO の設計) を開発し (特許出願済)、3) 実験動物への負荷を最小限にしたアトピー性皮膚炎モデルマウス樹立法の確立を進めている。

▶ 社会実装と実用化への可能性

薬が存在しない難病、あるいは発症数が少ないために開発が進んでいない難病に罹患し苦しんでいる患者に対して、独自に開発した技術で副作用の少ない核酸医薬品を創出し、新薬を提供する事業展開につなげる。少ない手順で短期間開発できることから、将来的には開発コストを抑えることが可能であり、一人でも多くの方の病苦を取り除くという社会的使命を果たすことを目指している。

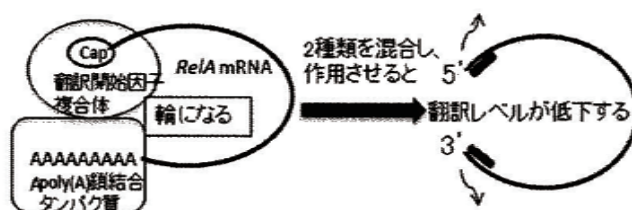
小児がん発症頻度

小児のがんの発症頻度



小児ガンのうち、発症頻度が低い難病では、医薬品の開発が進んでおらず、副作用の少ない核酸医薬品への期待が大きい

Dual Lock 法の原理



3' 末端、5' 末端双方に作用することにより、遺伝子融合で生じるキメラ遺伝子の発現を德的に抑制可能

特 許 特許 595317、他出願済

論 文

A novel dual lock method for down-regulation of genes, in which a target mRNA is captured at 2 independent positions by linked locked nucleic acid antisense oligonucleotides. RNA Biology doi:10.1080/15476286.2015.

Antisense morpholino targeting just upstream from a poly(A) tail junction of maternal mRNA removes the tail and inhibits translation. Nucleic Acids Res. doi:10.1093/nar/gks765, 1-10, 2012.

参考 URL <http://www.bio.eng.osaka-u.ac.jp/ez/index.html>

キーワード アンチセンス核酸、核酸医薬、キメラ遺伝子、アトピー性皮膚炎