C04 次世代医療であるRNA 創薬を実現するツールの開発

工学部・応用化学科・教授・北出　幸夫
ykkitade@aitech.ac.jp

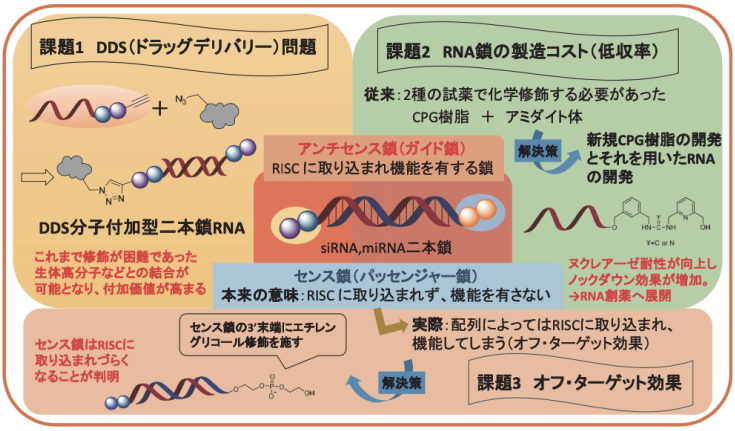
キーワード　核酸医薬、RNA創薬、マイクロRNA、DDSフリー、コンパニオン診断薬

概要

がんなどの難治性疾患の治療に抗体医薬が使われるようになってきたが、治療費が高額であるなど問題点も多い。そのような背景のもと、画期的な医薬としてマイクロRNAが注目されるようになった。マイクロRNAは、生体分子でありマイクロRNA の発現低下によりがんや生活習慣病を発症することが判ってきた。我々は、発現低下によるがん化に対して補充療法を実施する治療法を開発した。最近、がん遺伝子RASの変異に伴うがんに有効なマイクロRNAの探索に成功した。この化学修飾miR-143は、従来の低分子医薬や抗体医薬と異なりがん遺伝子RASを多角的に阻害する画期的な抗がん剤となることが期待される。更に、次世代医療であるRNA医薬を実現する様々な手法も開発した。

セールスポイント

1．新モダリティ：核酸医薬は抗体医薬の10分の１のコスト
2．ヌクレアーゼ耐性オリゴヌクレオチドの開発：活性増強、生物学的半減期の増大
3．DDSフリー：リガンド結合型RNAライブラリー作成法の開発



企業等での活用例、今後の展望等

1．マイクロRNAを用いた難治性疾患の新規治療薬及びコンパニオン診断薬の開発
2．化学修飾により核酸分子の高機能化（重水素化、PETラベル化、各種標識化）
3．DDSフリーで核酸医薬の標的細胞・臓器への選択的デリバリーを実現

参考資料

1) *Bioorg. Med. Chem.*, **21**, 4494-4501(**2013**); *Mol. Ther.*, **21**, 1204-1211(**2013**) ; *Cancer Sci.*, **109**, 1455-1467 **(2018)**.
2) 特許5721180号, USP 8,633,304 B2；特許第6346568号, USP 10,006,024 B2；特許第6667179号, USP 10,487,103 B2.