

# 腫瘍治療を指向した核酸医薬用ナノテクノロジーの開発

# S0-225101

愛知工業大学  
准教授：宮本 寛子



## ビジョン

- 核酸医薬は、遺伝子の上流から塩基配列特異的に制御できる医薬としての開発が期待されているがその有用な送達技術の欠如が課題である
- 独自技術の実用的な合成方法の確立と開発戦略の構築によるがん治療核酸医薬の開発を目指す
- 独自技術：新規核酸医薬の臓器/細胞送達技術として脂質フリーの技術を開発した
  - ー薬効を示す核酸のセンス鎖を化学修飾することで核酸自身をナノ粒子化する
  - ー核酸自体をナノ粒子化することによりナノキャリアフリーを実現したドラッグデリバリーシステム(DDS)である

## 市場性

- 2030年には核酸医薬の市場は3兆円規模(LNPは1.5兆円)に上昇するとの見込み(市場調査報告)
- 標準的な治療法では十分な効果が得られにくい、または治療後に再発しやすいの難治性がんに対する市場は3兆円規模の上昇
- 難治性がんに対する治療アプローチとして、低分子医薬や抗体医薬の併用療法や、抗体-薬剤コンジュゲート(ADC)、細胞治療、放射線治療など様々なアプローチが試みられています

## 新規性・優位性

先行技術の脂質ナノ粒子(LNP)は肝臓集積が高く腫瘍への送達効率の低さが課題である

- ✓ RIONは脂質フリーであることから脂質運搬タンパクの吸着を回避する特徴を有する
- ✓ 肝臓集積が低く腫瘍へ集積する特徴を有する
- ✓ LNPよりも薬効成分の搭載量が高く投与量の軽減が見込まれる

## 連携への関心

### 【連携に関心のある業種】

製薬企業・化学・医療・バイオテック/創薬支援・CMO/CDMO/CRO・ベンチャーキャピタル

### 【連携に期待する事】

治験薬製造、非臨床安全性試験や臨床試験の計画・実施支援、スタートアップ支援など

## 研究概要

Key Words: #DNA, #RNA, #ASO, #DDS, #Nanotechnology

新規核酸医薬の臓器/細胞送達技術として脂質フリーの技術を開発した既存のナノキャリアと新規ナノ粒子RIONの比較

※既存のナノキャリア(脂質ナノ粒子など)

- 肝臓集積性が高い(>90%)
- 血中安定性が低い(<15分)
- 有効成分の担持率が低い(<5%) ナノ粒子
- 担体(有効成分以外)による副作用

高い腫瘍集積性を有するDDS技術(有効成分の薬効向上へ貢献!)

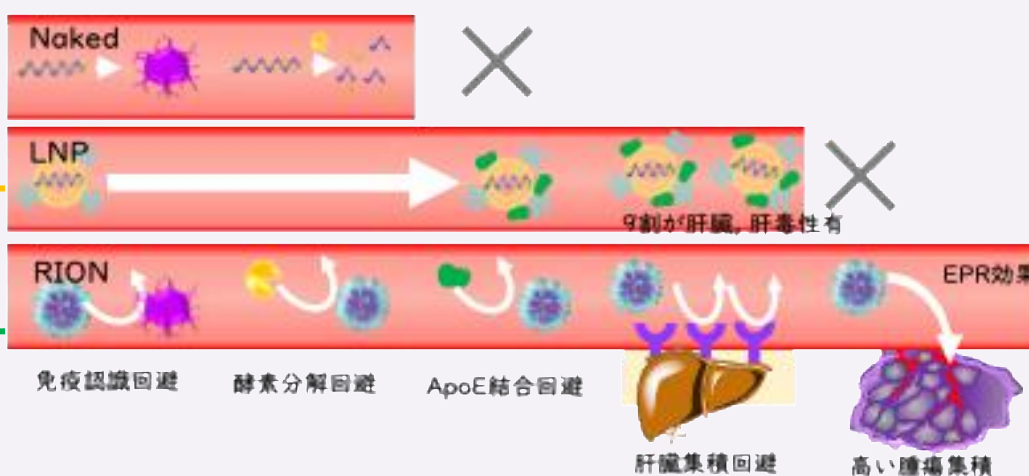
◎ナノ粒子RION

- 腫瘍集積性が高い(肝臓への集積は不検出)
- 血中安定性が高い(>2時間)
- 有効成分の担持率が高い(核酸のみで構成)
- 核酸自体をナノ粒子化(担体が存在しない)

- 核酸導入が困難なin vitroアッセイから核酸送達困難な生体応用までの展開が期待されます



RIONは「核酸医薬」の開発への貢献が期待



## 知財ポートフォリオ

基本概念物質特許  
 発明の名称：カチオン性人工核酸を用いたDNA-RNA医薬の導入法  
 出願番号：PCT/JP2022/19343(日本、米、中、欧州、濠)  
 出願人：国立研究開発法人科学技術振興機構(JST)  
 発明者：宮本 寛子  
 出願日：2021年4月28日  
 状況：公開

発明の名称：核酸送達用構造体の造血管腫瘍の治療への使用  
 出願番号：PCT/JP2024/18410  
 出願人：国立研究開発法人科学技術振興機構(JST)  
 発明者：宮本 寛子、他2名  
 状況：公開

未公開周辺知財  
 出願人：国立研究開発法人科学技術振興機構(JST)  
 発明者：宮本 寛子  
 状況：出願

Miyamoto, Noriko, et al. (2023) Journal of Drug Delivery Science and Technology, 88: 104902.

Miyamoto, Noriko, et al. (2023) Advanced Therapeutics 6: 2200265.