

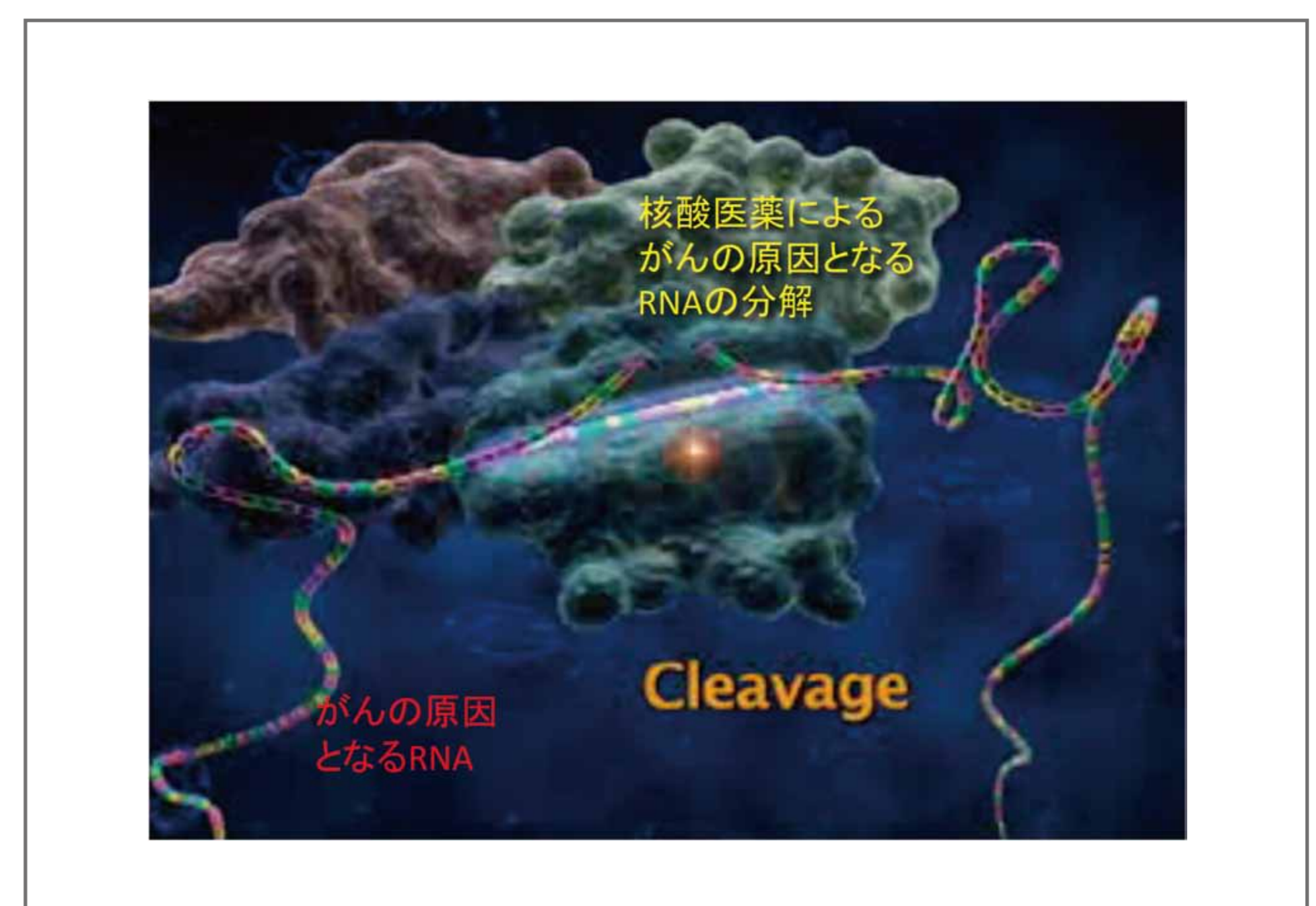
# 核酸医薬治療

RNAi Therapy

核酸医薬治療は遺伝子(DNA)を細胞に添加する遺伝子治療とは異なり、合成核酸(RNA)の投与により、RNA干渉という本来細胞が有する機構を利用して、がん細胞で異常に発現が上昇している遺伝子の機能阻害を誘導し、がん細胞の排除をめざします。新しい治療方法ですが急速に研究が進んでいます。

## 革新的技術の発見から産まれた新しいがんの治療戦略

細胞では、遺伝子情報がRNAという中間物質を介してタンパク質に翻訳され機能します。がん関連タンパク質の増加には、RNAの異常が原因の一つとなります。20世紀末に発見されたRNA干渉法(RNAi)は、RNAに特異的に結合する人工核酸により標的遺伝子のタンパク質への翻訳を阻害することを可能にしました。また、がん細胞では正常の細胞が有する小さいRNA(マイクロRNA)の機能が損なわれていることも発見されました。我々研究所が長年挑んできたがん悪性化メカニズムの研究からは、多くの標的遺伝子やマイクロRNAが治療に有効な候補として挙げられています。さらに様々ながんのモデル動物を作製し、がん遺伝子を阻害する合成核酸や、マイクロRNAを模倣する合成核酸の投与により、がん抑制効果を示すことに成功しています。現在はこれら核酸医薬治療の臨床応用を目指し、安全性の検討や、合成核酸をがん細胞特異的に送達する方法の開発を進めています。



### 世界の核酸医薬品の開発の現状

