

# 非病毒性基因治疗

## ~新基因载体的设计及其对医疗的应用~

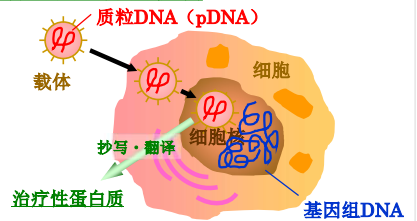
### 发明要点

开发利用非病毒载体（聚合pDNA复合物）的基因治疗的技术。

#### 非病毒载体的特点

- 很高的安全性（免疫原性和基因组整合的风险很低）
- 可以静脉注射（病毒载体难以静脉注射）
- 能运输的基因的大小没有限制  
（腺相关病毒最多可以运输4800残基。但是人类的平均基因数量是8446残基。）

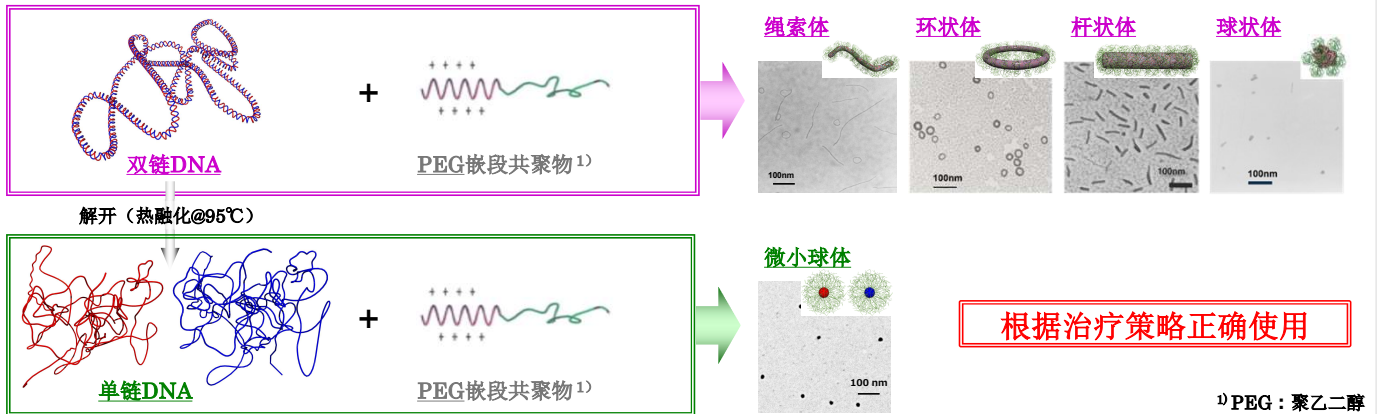
这种基因治疗的机制



### 发明概要

#### [聚合物pDNA复合物的高阶结构]

通过改变聚合物（PEG嵌段共聚物<sup>1)</sup>）的类型，可以实现各种高阶结构



### 发明优势

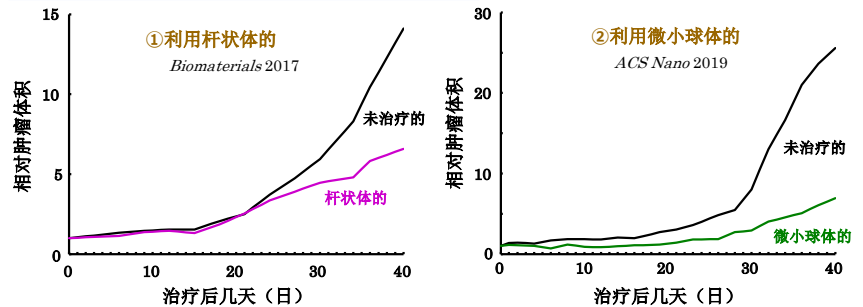
#### [对胰腺癌治疗的应用]

- 常见的固形癌：100纳米左右的颗粒通过血管的缝隙，并在癌组织中积累（EPR效果）。
  - 胰腺癌：在血管和癌巢之间有纤维性间质。⇒ 需要50纳米以下的颗粒才能到达癌组织。
- ⇒ ① 利用杆状体（76纳米）来表达防止血管和间质之间血管生成的蛋白质的治疗方法 ⇒ 间接抑制癌生长  
 ⇒ ② 利用微小球体（26纳米）在癌细胞中表达基因的治疗方法 ⇒ 直接杀伤癌细胞

#### 胰腺癌组织周围的环境（模式图）



#### 对胰腺癌的使用非病毒载体的基因治疗效果（小鼠）



利用非病毒载体的治疗抑制胰腺癌的生长

### 预期用途

- ◎ 作为难治性癌症（如胰腺癌）治疗剂的利用
- ◎ 对遗传性疾病的基本治疗的应用（如对免疫缺陷病的治疗剂等）
- ◎ 对基因编辑和疫苗的应用

#### 代表发明人：

长田 健介  
（量子科学技术  
研究开发机构）

#### 可授权的专利

发明名称：核酸包封的聚合物胶束复合物及其生产方法  
 国际出版号：WO2015020026  
 联系地址：科学技术振兴机构 知识产权管理推进部  
 电话号码：+81-3-5214-8486  
 电子邮件：license@jst.go.jp  
 URL：www.jst.go.jp/chizai/

