非ウィルス性遺伝子治療
～新しい遺伝子ベクターの設計と医療への応用～

Department of Intellectual Property Management

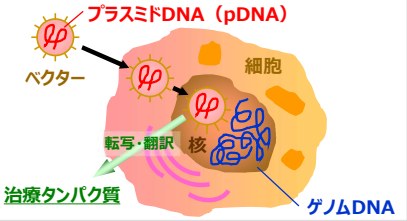
発明のポイント

非ウィルスベクター（高分子pDNA複合体）を用いた遺伝子治療用技術を開発

非ウィルスベクターの特長

- 高い安全性（免疫原性やゲノムへの組込みリスクが低い）
- 静脈投与可能（ウィルスベクターは静脈投与が困難）
- 運べる遺伝子サイズに制限なし
  （アデノ随伴ウィルス：4800残基まで ⇐ ヒト遺伝子平均：8446残基）

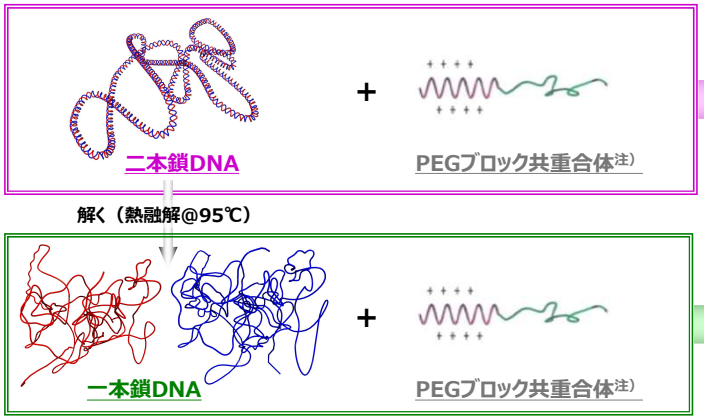
本遺伝子治療のメカニズム

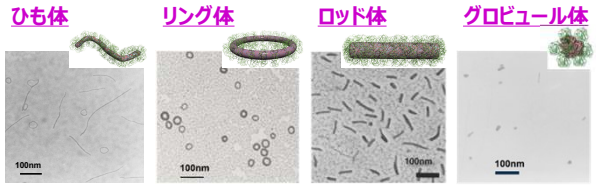


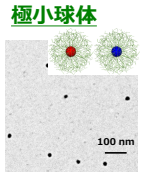
発明の概要

【高分子pDNA複合体の高次構造】

高分子（PEGブロック共重合体注））の種類を変えて様々な高次構造を実現







治療戦略によって使い分け

注）PEG：ポリエチレングリコール

発明の優位性

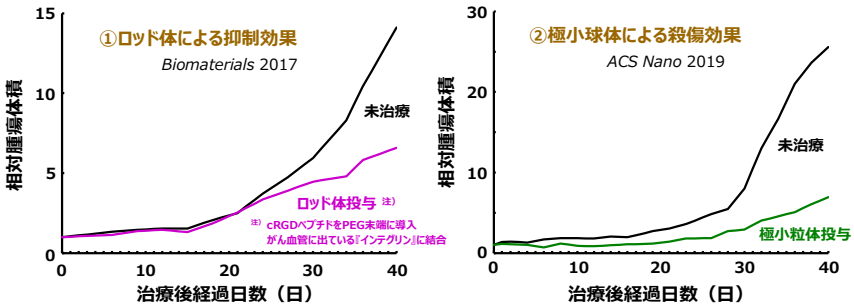
【膵臓がん治療への応用】

- 一般的な固形がん： 100 nm程度の粒子が血管の隙間を抜け、がん組織に集積（EPR効果）
- 膵臓がん： 血管とがん巣の間に繊維性の間質 ⇒ がん組織へ到達するには50 nm以下の粒子が必要

→ ① ロッド体（76 nm）により、血管/間質で血管を作らせないタンパク質を発現させる治療法 ⇒ がん増殖を間接的に抑制
② 極小球体（26 nm）により、がん細胞に遺伝子を発現させる治療法 ⇒ がん細胞を直接的に殺傷

膵臓がん組織周辺の環境（模式図）

非ウィルスベクターを用いた膵臓がんの遺伝子治療効果（マウス）



非ウィルスベクターによる治療により、膵臓がんの増殖抑制を確認

想定される用途

◎ 膵臓がんをはじめとする難治性がん治療剤としての利用
◎ 遺伝子疾患の根本的治療への応用（免疫不全疾患に対する治療剤など）
◎ 遺伝子編集やワクチンへの応用

代表発明者：
長田　健介
（量子科学技術
研究開発機構）

ライセンス可能な特許

発明の名称　：核酸内包高分子ミセル複合体及びその製造方法
国際公開番号：WO2015020026
連　絡　先　：JST知的財産マネジメント推進部 ライセンス担当
電話）03-5214-8486
メール）license@jst.go.jp
URL）www.jst.go.jp/chizai/