

非ウイルス性遺伝子治療

～新しい遺伝子ベクターの設計と医療への応用～

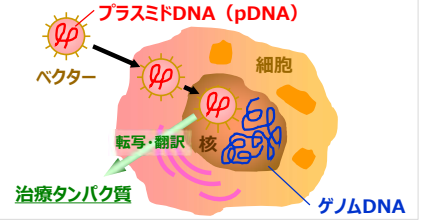
発明のポイント

非ウイルスベクター（高分子pDNA複合体）を用いた遺伝子治療用技術を開発

非ウイ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み込みリスクが低い）
- ・ 静脈投与可能（ウイ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
（アデノ随伴ウイルス：4800残基まで ⇐ ヒト遺伝子平均：8446残基）

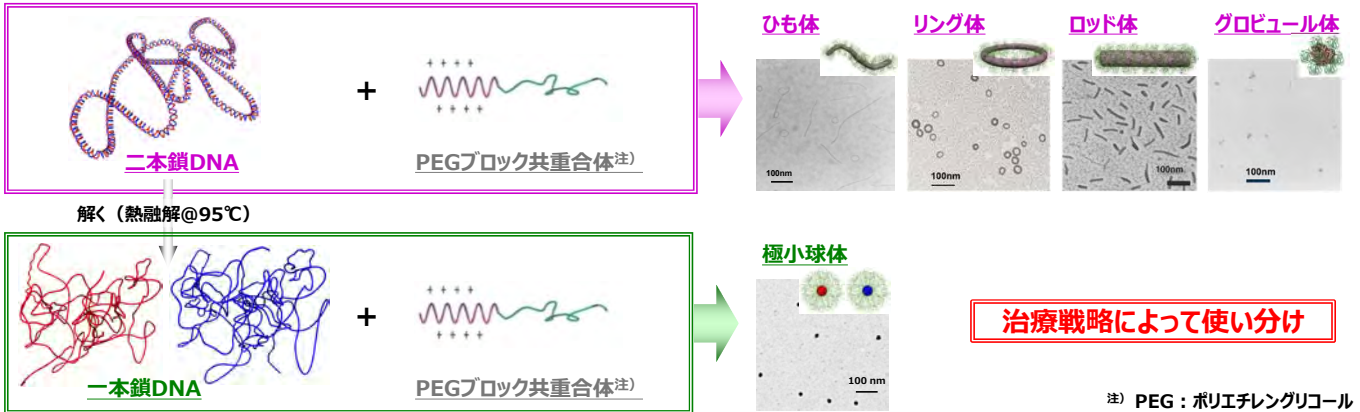
本遺伝子治療のメカニズム



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



発明の優位性

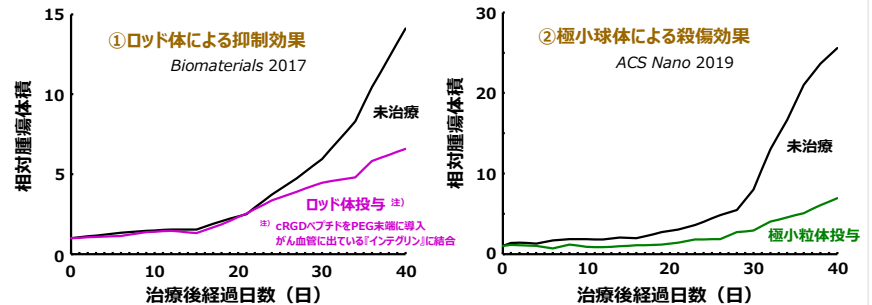
【膵臓がん治療への応用】

- ・ 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）



非ウイ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）



非ウイ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/

