

# 細胞内疾患タンパク質を標的可能な刺激応答性 DNA アプタマー創薬の開発と応用

### 【キーワード】

DNA アプタマー

刺激応答性

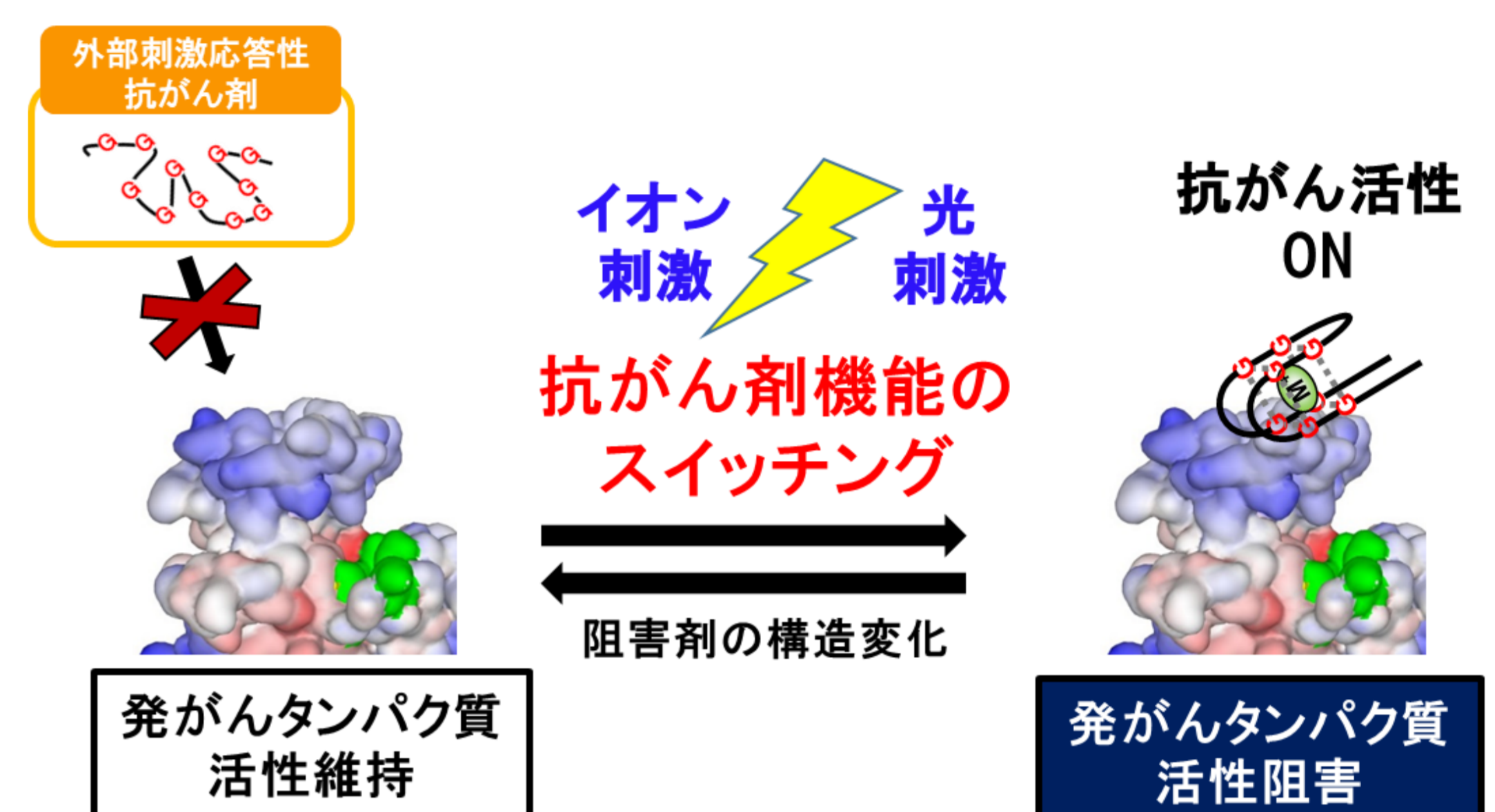
ポスト抗体医薬

抗がん剤

膜透過性

### ■概要

現在抗がん剤開発において隆盛を極めている抗体医薬は、細胞膜を透過できないことから標的が細胞外に限定されており、「細胞膜透過型の抗体様分子開発」が強く望まれている。我々は、抗体類似機能を有する刺激応答性DNA分子”IRDAptamer”ライブラリの開発するとともに、本化合物が自発的に細胞内導入されることを見出している。本化合物が抗体医薬に代わる新規抗がん剤プラットフォームとして展開することを目的としている。



### ■詳細

抗体医薬は、臨床の現場で幅広く使用されているが、細胞膜の不透過性や新規標的分子の枯渇といった薬効課題に加え、高い治療費が課題となっている。我々は、抗体と同様な機能を有する一本鎖DNAであるDNAアプタマーを材料とし、イオン刺激に伴う構造変化で薬効機能のON/OFF制御が可能な刺激応答性IRDAptamerを用いて、臨床応用を目指したポスト抗体薬への展開を目指している。

#### ○競合研究に対する優位性

- ・ 合成可能であるため安価
- ・ 生体内での高い安定性
- ・ 薬効のON/OFF制御による副作用軽減（特願2019-045938）
- ・ 細胞外のみならず細胞内も標的可能（特願2019-096035）
- ・ ライブラリであるため、多様な疾患に対応可能

#### ○想定される実施例、応用例

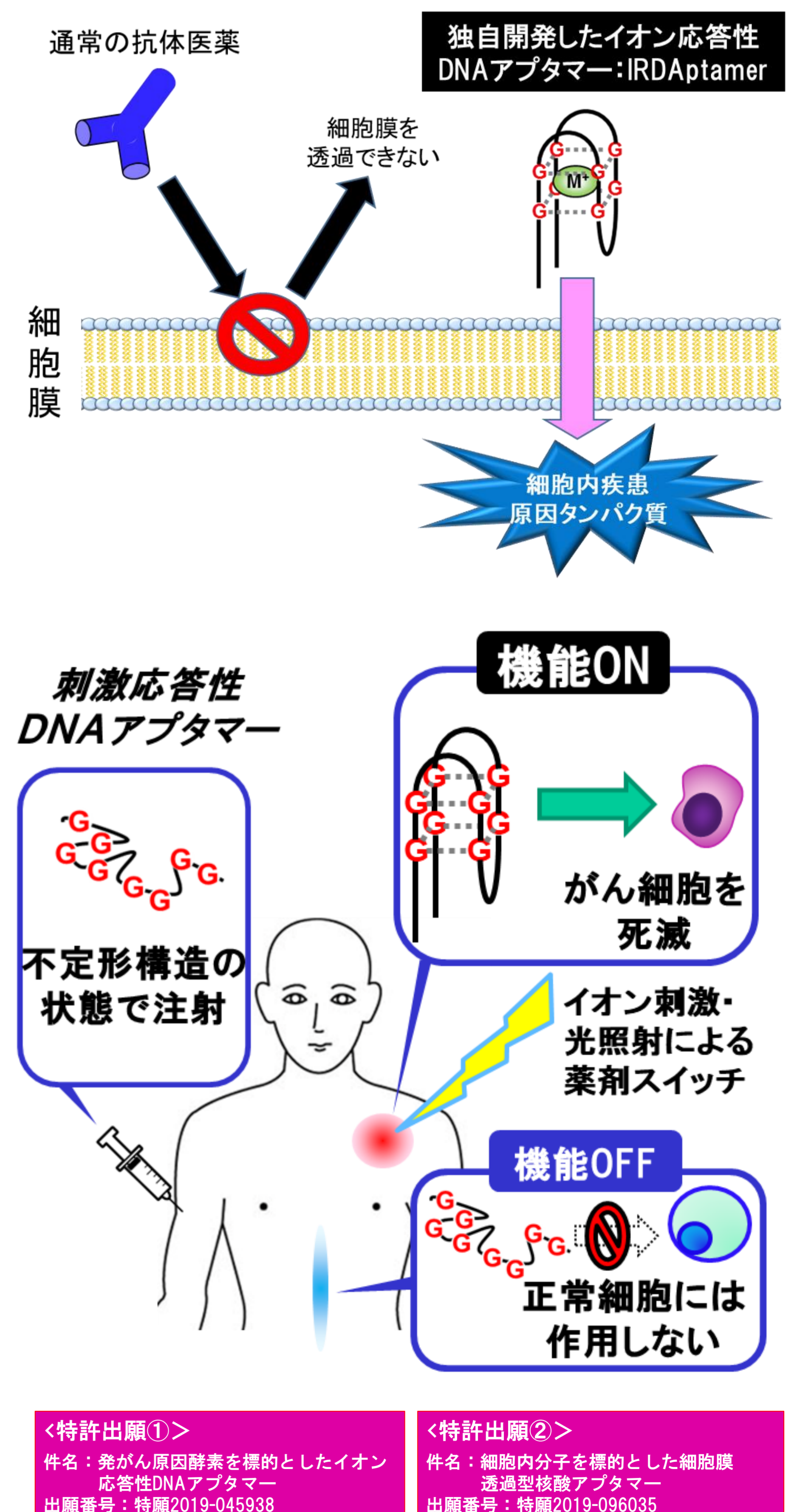
- ・ 抗がん剤を含む、副作用の少ない様々な疾患治療薬
- ・ 簡便で安価な高感度疾患検査キット（アプタマーチップ）

#### ○今後の課題、展望

- ・ 抗がん治療薬を含む多様な疾患治療薬としての展開
- ・ *in vivo*実験の蓄積、生体における毒性試験

### ■応用を期待する分野

- ・ がん治療薬を含む創薬開発、疾患リスク評価のための高感度疾患検査キット開発



<特許出願①>

件名：発がん原因酵素を標的としたイオン応答性DNAアプタマー  
出願番号：特願2019-045938

<特許出願②>

件名：細胞内分子を標的とした細胞膜透過型核酸アプタマー  
出願番号：特願2019-096035

本技術の問い合わせ先

新潟大学 地域創生推進機構

TEL:025-262-7554 FAX:025-262-7513 E-mail:onestop@adm.niigata-u.ac.jp