

課題名：低分子RNA治療を実現するための新規RNAウイルスベクタープラットフォームの創製

氏名：朝長啓造

機関名：京都大学

1. 研究の背景

蛋白質に翻訳されない短いRNAを低分子RNAと呼びます。低分子RNAは、ガンや神経疾患など様々な病気に効果があると期待される次世代の治療薬です。しかしながら、非常に壊れやすいRNAを体の中に安定に運び、疾患局所で持続的に作用させる方法が確立されておらず、低分子RNA治療は実現していません。

2. 研究の目標

本研究では、ウイルスを利用することで体の局所で低分子RNAを効率的かつ持続的に機能させるこれまでにないウイルスベクター技術の開発を目標にしています。

3. 研究の特色

ボルナウイルスというRNAを遺伝情報に持つウイルスを利用するところに本研究の特色があります。ボルナウイルスが細胞核でRNAを持続的に産生できるという独自の発見と、人工ボルナウイルス作製に関する特許技術を革新的に組み合わせることで目標の達成が可能となります。

4. 将来的に期待される効果や応用分野

本研究により、ガンなど様々な難治疾患を対象とした低分子RNA治療が可能になると期待されます。ボルナウイルスは神経細胞にも感染するため、アルツハイマー病などの神経疾患の治療にも有効と考えられます。ボルナウイルスベクターの開発は、RNAの基礎研究や遺伝子治療分野にも応用できる極めて波及効果の高い研究です。



低分子RNA

20-25塩基の小さなRNA

- siRNA
- shRNA
- miRNA

多彩な機能

mRNAの発現翻訳制御
遺伝子発現調節

応用



新しい画期的な治療法

癌、慢性感染症
中枢神経系疾患など

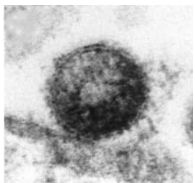
しかしながら、生体への適用は実現していない！！

問題点

低分子RNAを生体内に安全に輸送し、持続的に発現させる技術基盤が欠如している

解決策

世界に先駆け開発した低分子RNAを持続発現するボルナウイルスベクターを実用化し、低分子RNA治療のプラットフォームを提供する



ボルナウイルス： RNAを遺伝情報として持ち、低分子RNAを持続的に発現できる**唯一のウイルス**

特色・独創性

- ボルナウイルスの研究・技術開発で世界をリードしている
- ボルナウイルスベクターは国産の独自の技術(国際的優位性)
- 他のウイルスベクターと比較した有用性



- ボルナウイルスベクターの改良
- ボルナウイルスの複製・病原性の解明
- ボルナウイルスベクターの安全性試験
- 他のRNAウイルスベクターとの比較研究

期待される成果

- 低分子RNA治療が実現化する
- RNA創薬研究の展開
- 生命基礎研究への波及効果
- ボルナウイルス病原性の解明

ライフ・イノベーションの推進

新薬開発・新分野創出

基礎研究への応用

ウイルス疾患への理解