

**遺伝性難病の根本治療に核酸医薬搭載ナノマシンを。
研究開発と疾患啓発を目的としたクラウドファンディングを開始。**

- ・ 指定難病「嚢胞性線維症」の根本治療に結びつく核酸医薬の開発研究を開始。
- ・ アカデミスト社との提携によるクラウドファンディングの募集を本日から開始。
- ・ 研究資金の調達のみならず、「嚢胞性線維症」の社会啓発に繋げたい。

報道関係者 各位

平素は大変お世話になりましてありがとうございます。

公益財団法人川崎市産業振興財団 ナノ医療イノベーションセンター（センター長：片岡一則、所在：川崎市川崎区、略称：iCONM）では、核酸医薬を搭載したナノサイズのミセル（ナノマシン）を用いて、嚢胞性線維症の発症原因となる遺伝子の発現を抑制する研究を計画しています。嚢胞性線維症は、日本国内で60万人に1人の割合で発症する希少疾患で、粘性の高い分泌液が肺や膵臓など全身の主要器官に過剰分泌し、呼吸困難や消化障害といった様々な苦痛をもたらす疾患です。現時点で根本治療に有効な薬剤は無く、厚生労働省より指定難病として分類されています。国内の認定患者数は40名と言われてはいますが、軽症で罹患に気づいていない潜在的な患者さんも少なくないとされ、本疾病に関する社会啓発は重要であるとの認識しております。詳細につきましては、次のサイトをご参照ください。（<http://www.nanbyou.or.jp/entry/4531>）



Yang Wenqian

嚢胞性線維症は、CFTR 遺伝子の変異に基づく疾患であることが知られており、その変異遺伝子の発現を抑制する核酸医薬が根本治療に効果的であるとの仮説が立ちます。しかしながら、核酸医薬はとても不安定であり、そのままでは標的遺伝子にまで十分到達できません。当センターでは、血液脳関門を通過できるようデザインされたナノマシンに核酸医薬を封入することで、脳腫瘍への治療効果を示した基礎研究の結果が、今年4月、英国誌 Nature Communications に掲載されました（<https://www.nature.com/articles/s41467-019-09856-w>）。同様に、CFTR 遺伝子に対して作用するナノマシンをデザインし、前述の仮説を実証するための研究を、iCONM・片岡・喜納ラボの博士課程大学院生 Yang Wenqian（ヨー・ブンセイ）が計画しています。研究費の調達もさることながら、ほとんど世間で認知されていない嚢胞性線維症の啓発目的も兼ね、アカデミスト社（代表取締役：柴藤亮介、所在：東京都千代田区）との連携によるクラウドファンディングを本日開始致しました。詳細は次のサイトをご参照ください。（<https://academist-cf.com/projects/129>）

統合イノベーション戦略推進会議 2019 においても、国内にボストンやシンガポールと並ぶイノベーション・エコシステムの擁立が重要視されていますが、そのシステムを好循環させる上で、ファンディングが成功することは必須条件となります。また、クラウドファンディングは疾患啓発においても重要な役割を担いますので、国内においてクラウドファンディングの持つ意義が更に広まることを願っております。

公益財団法人川崎市産業振興財団について

産業の空洞化と需要構造の変化に対処する目的で、川崎市の 100%出捐により昭和 63 年に設立されました。市場開拓、研究開発型企業への脱皮、それを支える技術力の養成、人材の育成、市場ニーズの把握等をより高次を実現するため、川崎市産業振興会館の機能を活用し、地域産業情報の交流促進、研究開発機構の創設による技術の高度化と企業交流、研修会等による創造性豊かな人材の育成、展示事業による販路拡大等の事業を推進し、地域経済の活性化に寄与しています。

<https://www.kawasaki-net.ne.jp/>

ナノ医療イノベーションセンターについて

ナノ医療イノベーションセンター (iCONM) は、キングスカイフロントにおけるライフサイエンス分野の拠点形成の核となる先導的な施設として、川崎市の依頼により、公益財団法人川崎市産業振興財団が、事業者兼提案者として国の施策を活用し、平成 27 年 4 月より運営を開始しました。有機合成・微細加工から前臨床試験までの研究開発を一気通貫で行うことが可能な最先端の設備と実験機器を備え、産学官・医工連携によるオープンイノベーションを推進することを目的に設計された、世界でも類を見ない非常にユニークな研究施設です。

<https://iconm.kawasaki-net.ne.jp/>

殿町国際戦略拠点キングスカイフロントについて

世界的な成長が見込まれるライフサイエンス・環境分野を中心に、世界最高水準の研究開発から新産業を創出するオープンイノベーション拠点です。キング (KING)」は、「Kawasaki INnovation Gateway」の頭文字と「殿町」の地名に由来し、「スカイフロント (SKYFRONT)」は、羽田空港の目の前という立地や、このエリアが世界につながっていることを表しています。2020 年には、間を流れる多摩川に橋が架かり、よりこの名称が現実的なものとなります。

<https://www.king-skyfront.jp/>

アカデミスト社について

アカデミストは、開かれた学術業界を実現し、研究者の価値を最大化することで、学問の発展に貢献することをミッションに、学術系クラウドファンディングサービス「academist」および学術系メディア「academist Journal」の運営を行っています。academist は、日本初の研究費獲得に特化したクラウドファンディングサービスです。これまでに約 100 名の研究者がクラウドファンディングプロジェクトに挑戦し、総額約 1 億円の研究費の獲得に成功してきました。2019 年 1 月からは大学院生の研究・生活費獲得に向けた月額課金制のクラウドファンディング「academist Fanclub」を開始いたしました。また、academist Journal は、研究者が主役となる一般向け学術メディアとして、研究者自身が

執筆したコラムや、第一線で活躍する研究者へのインタビュー記事を数多く掲載しています。若手からトップランナーの研究者まで、これまでに約 400 名の研究者の方々にご協力いただきました。

- ・ 学術系クラウドファンディングサイト「academist」 <https://academist-cf.com/>
- ・ 学術系メディア「academist Journal」 <https://academist-cf.com/journal/>