

記者会見のご案内

- ・世界初！一本鎖 DNA の静脈注射による膵臓がん遺伝子治療をマウスで実証。
- ・治療の妨げとなっていた膵臓がん間質を突破し、がん細胞に送り込んだ遺伝子を機能させることに成功。
- ・アデノ随伴ウイルス (AAV) を用いた遺伝子注入法とは異なり、搭載遺伝子のサイズが制限されない手法を開発。遺伝子治療を新たなステージに導く可能性。

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、所在地：川崎市川崎区、略称：iCONM）は、国立研究開発法人量子科学技術研究開発機構（理事長：平野俊夫、所在地：千葉県千葉市、略称：QST）との共同研究により、世界で初めて、細胞内に送り込んだ一本鎖の DNA から転写・翻訳が起こり、高効率で目的とするタンパクを産生できることを実証しました。これを可能としたのは、今日広く遺伝子治療に使われているアデノ随伴ウイルス (AAV) 並みにダウンサイジングした、一本鎖 DNA と高分子からなる合成ベクター（注1）です。この合成ベクターを用いることで、膵臓がんなど、間質の多い難治性がん(注2)の深部にまで遺伝子が届き、期待した機能発現が起きることがマウスで確認されました。実際、難治性膵臓がんに対し、この合成ベクターの静脈注射を行うと、自殺遺伝子療法(注3)が機能し、がんの成長を有意に抑えることができました。尚、この合成ベクターは生体適合性高分子とペプチドからつくられており、安全性が高いものになっています。現代の先端医療においても早期発見が難しく、外科手術の適用例が他のがんと比べて少ない膵臓がんにおいて、低侵襲な静脈注射での治療に成功したことは大きな進歩です。また、一般的に DNA（遺伝子）のベクターとして用いられるアデノ随伴ウイルス (AAV) では、搭載できる遺伝子のサイズが制限されてしまうのに対して、今回開発した合成ベクターは遺伝子のサイズに制限がありません。このことは、サイズ制限が理由で搭載できなかった遺伝子を用いた治療領域を切り拓き、また CRISPR-Cas9 などによる遺伝子編集への展開も容易にすることが期待できます。本研究内容は、数日以内に、アメリカ化学学会が発行する ACS Nano 誌（注4）に掲載される予定で、それに伴い、後述しました要領にて記者会見を開催いたします。大変急なご案内ではありますがお集り頂けましたら幸甚に存じ上げます。尚、ご出欠のお返事をメールまたはファックスにて頂けますと大変助かります。

注1) ベクター：遺伝子を細胞に送り届ける役割を担うものをベクターという。アデノ随伴ウイルスは、その代表例。ここでは、合成高分子と遺伝子を静電的に会合させてできたミセルをベクターに用いた。

注2) 難治性がんと間質：膵臓がん代表される難治性のがんでは、血管壁の隙間が小さく、血管周囲を周被細胞が取り巻いている。また血管の外に線維性の間質組織がある。これらが薬剤の到達を阻むバリアーとなり、薬物治療を困難にさせている。

注3) 自殺遺伝子療法：無害の薬剤（プロドラッグ）を生理活性のある薬剤に変換させる代謝酵素をがん細胞で遺伝子発現させ、細胞死を誘導する治療法。ここでは、膵臓がん細胞に遺伝子導入によりシトシンジアミナーゼを発現させておき、プロドラッグである5-FUを投与している。がん細胞で5-FUが5-FUに変換されることで殺細胞効果が得られる。

注4) ACS Nano 誌：ナノサイエンス・ナノ工学の領域では、Nature Nanotechnology に次いで2番目にインパクトの高い学術誌（インパクトファクター = 13.9）。

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/>

国立研究開発法人量子科学技術研究開発機構について

国立研究開発法人量子科学技術研究開発機構（QST）は、量子科学技術を一体的、総合的に推進するため、放射線医学総合研究所と日本原子力研究開発機構の量子ビーム部門と核融合部門が再編統合され、平成28年4月1日に新たに発足した国立研究開発法人です。重粒子線などによるがんの治療や、放射線の人体への影響や医学利用、放射線防護や被ばく医療などの研究、量子ビームによる物質・材料科学、生命科学等の先端研究開発、高強度レーザーなどを利用した光量子科学研究、国際協定に基づくITER計画及び幅広いアプローチ(BA)活動を中心とした人類究極のエネルギー源である核融合の研究などを実施しています。

<https://www.qst.go.jp/>