

いでんし せっけいず

遺伝子の設計図のまちがいを と なお いやく め ざ 飛ばして治すRNA医薬を目指して

野村郁子

北海道大学 生命科学院 臨床薬学専攻
RNA 生物学研究室

3

すべての人に
健康と福祉を



9

産業と技術革新の
基盤をつくろう



未来社会のあるべきかたち

- ◆ 何度も注射しなくて済む治療
- ◆ 治療にかかる負担（費用・通院）を減らす
- ◆ 一つの技術でいろいろな病気へ応用可能に

【課題】設計図のつなぎ間違いが病気を引き起こす

わたしたちの体は、遺伝子に書かれた「設計図」から必要な部分を写しとり、それをつなぎ合わせて、体に必要な部品（＝タンパク質）を作っています。しかし、つなぎ合わせている途中で、よけいな部分がまぎれこんでしまうことがあります。すると、せっかくの指令がうまく伝わらなくなってしまうのです。

○筋肉の設計図を繋ぎ合わせる(スプライシング)



この「まぎれ込み」は、筋ジストロフィーをはじめ、いろいろな病気に見つかっています。現在の薬では、患者さんは一生を通して、毎週注射を打つ必要があり、患者さんの負担も、お金もたくさんかかります。

【方法と結果】ネズミのRNAが、薬のヒントに

ネズミなどの小型げっし類が持つ小さなRNA「4.5SH」に注目しています。4.5SHには、設計図にまぎれ込んだ余計な部分を見つけ、つなぎ合わせのまちがいを防ぐはたらきがあることが、私たちの研究でわかってきました(Yoshimoto et al. molcell, 2023)。

○4.5SHが設計図のつなぎ合わせのまちがいを防ぐ(エクソンスキップ)



この 4.5SH をお手本にすると、色々な病気に対して、設計図に紛れ込んだ配列を飛ばすRNAの薬が作れることがわかりました。また、このRNAを、患者さんの体の中で作ることができれば、一回の注射で長く効く薬が作れます。

【これから目指すこと】長く効く薬を目指して

このRNAは体の中で壊れやすく、効果が長く続かないこともわかってきました。これから、壊れにくく、長く効く薬にするにはどうしたらいいかを調べようとしています。