

各位

2009年5月25日に発表致しました“国立大学法人東京大学および株式会社東京大学TLO の
カチオン性のポリアミノ酸に関する独占ライセンス契約の締結”に関するお問合せが多く、
補足説明資料(4枚)をリリース致します。

【本件に関するお問合せ先】

ナノキャリア株式会社 社長室

TEL: 03-3548-0217 E-mail: info@nanocarrier.co.jp

2009年5月25日発表の国立大学法人東京大学および株式会社東京大学TLO との
カチオン性のポリアミノ酸に関する独占ライセンス契約の締結についての**補足説明資料**

今回のライセンス契約は、新たな技術を導入して
ナノキャリアの技術開発の幅を広げるものです

ナノキャリアはsiRNA医薬品開発における二つのデリバリー技術を獲得

➤ **今回の新規のカチオン性ポリアミノ酸によるデリバリー技術**

(ミセルでないのが特徴*)

- ・siRNAと高分子イオン複合体を形成して、細胞質内へsiRNAを特異的に放出できる技術

➤ **従来のミセル化ナノ粒子によるデリバリー技術**

- ・PEG化したカチオン性ポリマーでミセルを形成し、siRNA を体内で安定にする技術

* : 親水性ポリマーのPEGを結合させてミセルを形成することも可能です

siRNA医薬品への応用と課題

siRNA (small interfering RNA)

ウイルス感染を防御するために細胞が利用してきたメカニズムから見いだされた
21-23塩基対から成る低分子二本鎖RNA ⇒ 特定の遺伝子発現を抑制する



薬に応用

遺伝子疾患に関連した病原タンパク質の生成抑制 ⇒ 治療効果が期待される

siRNA医薬品

がん、加齢性黄斑変性症、脈絡膜血管新生、呼吸器多核体ウイルス、
糖尿病性黄斑浮腫、急性腎不全、喘息、高コレステロール血症など、
様々な疾患が対象となる

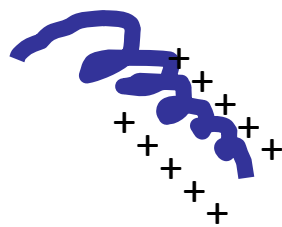
siRNA医薬品開発の課題

1. 血中に投与した場合、速やかに腎臓から排泄される
2. 生体内安定性が低く、容易に分解される
3. 分子量が大きく親水性であるため、細胞内に移行しない

カチオン性ポリアミノ酸とsiRNA(今回の技術)

siRNA医薬品開発への突破口

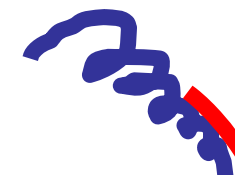
- 高分子複合体を形成し、siRNAを**安定化**
- siRNAを**細胞質内へ効率よく送り届ける**ポリマー設計
- 局所投与に適したデリバリーシステム(今回の技術)
- PEGを結合したミセル化ナノ粒子による、**血中滞留性の獲得**



プラス(+)に荷電したポリアミノ酸



マイナス(-)に荷電したsiRNA

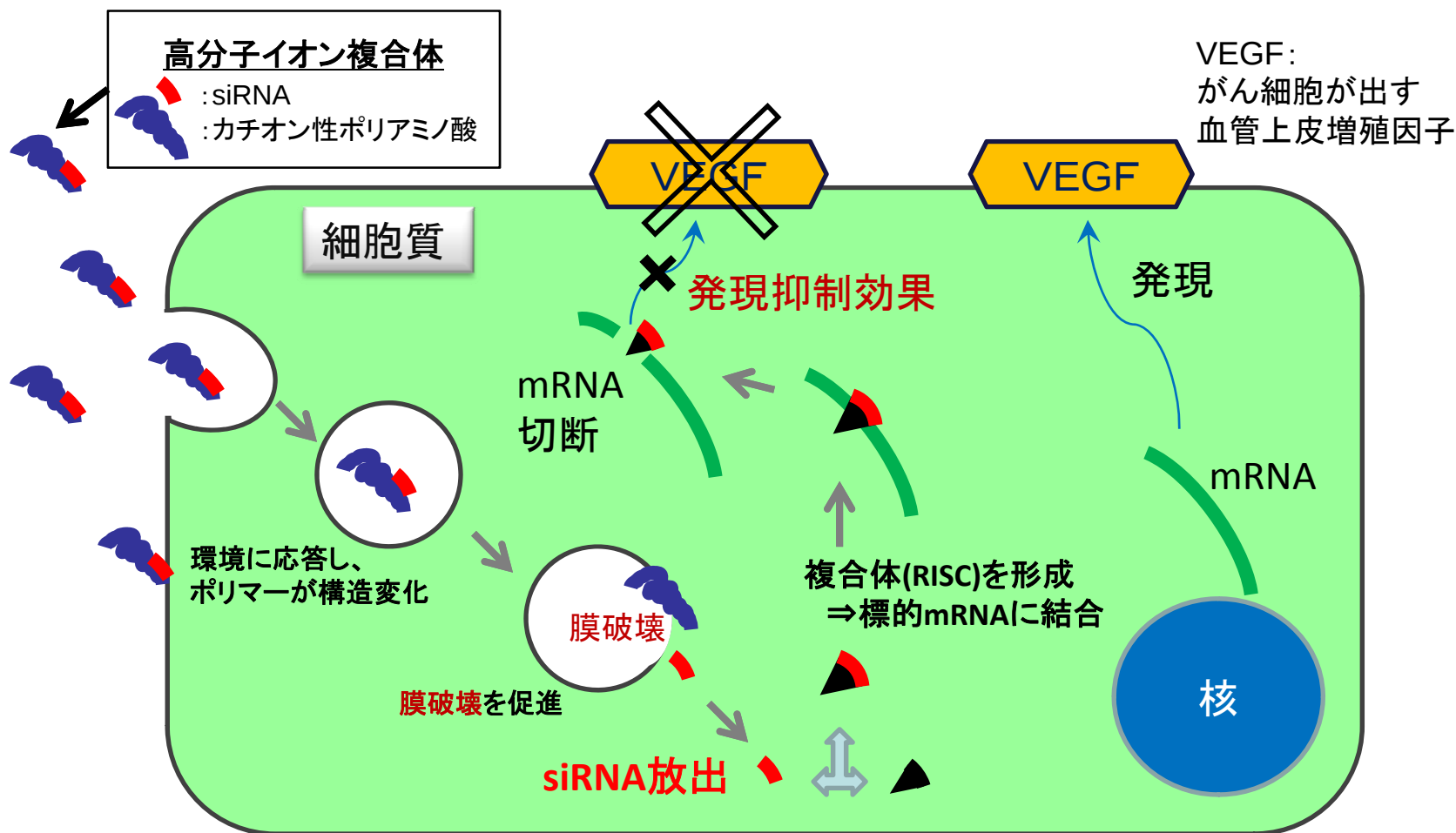


高分子イオン複合体*

* 高分子イオン複合体: プラスに荷電した高分子とマイナスに荷電した高分子が静電結合した複合体

予想される細胞内作用メカニズム

* 下図は、高分子イオン複合体(ミセルでない場合)の技術説明です



mRNA (メッセンジャーRNA): タンパク質を構成するアミノ酸配列情報を持つRNA

RISC: RNA-induced silencing complex (siRNAとタンパク質の複合体)

siRNAと相同性を持つmRNAに結合・切断することにより、標的遺伝子の発現が抑制される