



<各位>

ナ ノ キ ャ リ ア 株 式 会 社 代 表 取 締 役 社 長 中 冨 一 郎 ( 4 5 7 1 東 証 マ ザ ー ズ ) 問合せ先 取締役CFO兼管理部長/社長室長 中塚 琢磨 電話番号 0 3 - 3 5 4 8 - 0 2 1 7

## 核酸デリバリー用ミセル化ナノ粒子のプロトタイプ確立のお知らせ

当社はこれまで困難であった核酸医薬のデリバリー技術の開発を、東京大学大学院・片岡研究室との 共同研究および自社研究の双方で進めてまいりました。その結果、抗がん作用を有する siRNA などの核 酸を用いた薬効評価試験を積み重ねることで、効果が強く特徴の異なる 3 つのシステム\*1 の開発に成功 しましたので紹介いたします。いずれのシステムもマウスにおける抗がん作用は一回の投与量として約 1mg/kg の siRNA で十分であることを確認しており、更に効果を上げるためセンサー結合型のシステム としての応用を検討中です。

また、ビジネス活動も本格的に開始することとし、この 3 つのシステムを応用したフィジビリティースタディーを企業との間で開始しております。

今後は商標を NanoFect $^{\text{TM}}$  に統一して企業へのライセンス活動を推進するとともに、自社開発パイプラインとしての可能性を追及してまいります。

### \*1:3つのシステムについて:

自社(システム A) および東京大学(システム B およびシステム C) で生み出された3つのシステムの概要は次のとおりです(図を参照)。それぞれのシステムは粒子の大きさや特徴・性能が異なっており、適応がん腫や使用方法、がんが増殖している組織の状態の違いなど様々な変化に対応できることを目指しています。

#### システム A:

3つのシステムの中で一番大きな微粒子サイズ(直径約 120~140nm)を持ち、細胞内に取り込まれ易く、エンドサイトーシスにより取り込まれた後に細胞質内に効率良く移行できるような設計になっている点が特徴です。

#### システム B:

粒子は中程度のサイズ(直径約30~50nm)で、生体内に投与した後の血中ではsiRNAを放出せず、安定で細胞内に取り込まれた後に細胞内に多く存在するATP\*2によって放出されるシステムです。

### システム C:

一番小さな微粒子(直径約 10~20nm)で、血中滞留性に優れており、標的細胞までの経路が細いなどの課題に対応できるシステムです。

### \*2:ATP

**A**denosine **T**ri**p**hosphate(アデノシン 3 リン酸)のことで、生体内、特に細胞内ミトコンドリアで産生されるエネルギー源ですが、様々な物質の代謝、カルシウムや鉄の細胞内濃度の調節、細胞周期やアポトーシスの調節などにも大きく関わっています。



# 核酸デリバリー用ミセル化ナノ粒子のプロトタイプ確立

# 3つのシステム

# システム A

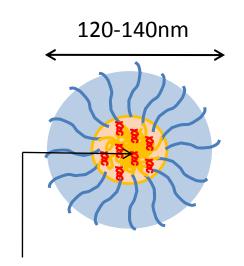
細胞内に取り込まれやすく、細胞質内 に効率よく移行するシステム

# システム B

細胞内ATPを利用してsiRNAを 放出するシステム

# システム C

血中滞留性に優れたシステム



ナノ粒子の内核(黄色)に核酸 (赤色)が結合されており、さらに 放出システムが一緒に組み込ま れている。 30-50nm

ナノ粒子の内核(紫色)に核酸(赤色)が結合されており、細胞内ATPによってこの結合が切れるため、放出制御ができる。

10-20nm

ナノ粒子を構成するポリマー(黄色)と核酸(赤色)がしっかりと相互作用しているため、安定性に優れている。

自社技術 東大技術

東大技術