



化学・薬品



医学・健康



バイオ

# RNA編集機構を利用した 部位特異的RNA編集技術



理学部 化学科 准教授

福田 将虎

分野

遺伝子制御技術、核酸医薬品

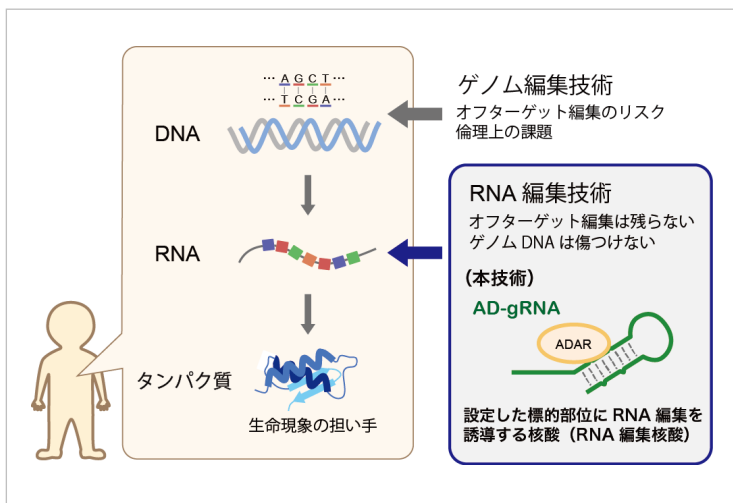
キーワード

RNA編集、ガイドRNA

## 概要

本技術は、ゲノムDNAではなくRNAのレベルで遺伝情報を書き換える（編集する）技術に関するものである。RNA編集技術は、標的タンパク質の機能や発現の制御が可能であることに加え、オフターゲット編集（意図しない部位の改変）が残らないという特徴から、ヒト疾患治療に適した遺伝子制御技術である。本RNA編集技術は、生体内のA-to-I RNA編集を担うRNA編集酵素（ADAR）を独自の機能性核酸（編集ガイドRNA: AD-gRNA）を用いて任意の標的部位に誘導し、合目的な標的RNA編集を行うことを原理としている。外来の変異体ADARタンパク質が必須である従来技術に対して、細胞内在の天然型ADARのRNA編集活性を利用することが本技術の利点であり、ADAR発現細胞にAD-gRNAを導入するだけで目的RNA編集が達成できる。

また、AD-gRNAは簡便な配列設計で標的部位を設定できるため、基礎研究用ツールだけではなく、RNA編集を原理とする疾患治療技術など、広く応用可能な汎用性の高い遺伝子制御技術になると期待できる。さらに、AD-gRNAをRNA編集核酸として展開することで、新たな核酸医薬品が開発できる。



## 特徴、効果、独創的な点

- ヒト疾患治療に適した遺伝子制御技術である。
- 多くの細胞種で、設計したAD-gRNAを導入するだけで合目的なRNA編集が達成できる。
- AD-gRNAは、RNA編集を原理とする新たな核酸医薬品として応用可能。

## 適用分野、用途

- 核酸医薬品
- 研究用試薬

## 論文、知的財産情報等

- 部位特異的RNA変異導入方法およびそれに使用する標的編集ガイドRNAならびに標的RNA-標的編集ガイドRNA複合体（特許第6624743号）