



萩原 正規
准教授

病気の原因遺伝子を選択し標的 RNAの構造改変、操作

弘前大学、熊本大学、名古屋大学、神戸薬科大学、ベンチャー企業「StapleBio」(ステープルバイオ) (熊本市) の研究グループは、遺伝子のメッ

ージを直接コントロールする新しい核酸医薬技術「RNAハッキング」を開発した。難治性の病気を対象とした安全性の高い治療薬の開発につながる可能性があるとして注目されている。

人の体の中ではDNAの情報に基づき「mRNA(メッセンジャーRNA)」が作られ、それを読み取ってさまざまなタンパク質が形

成される。タンパク質は体

を動かしたり、病気を防い

たりする重要な役割を持っ

ており、研究グループはm

RNAの形そのものを変え

ることで、特定のタンパク

質を作らせない技術を確認

した。

使用したのは「ステープ

ル核酸」と呼ばれる短い人

工の核酸分子。ステープル

核酸はmRNAの二つの離

れた場所に結合し、互いに

近づきホチキスで留めるよ

うにして形を変える。この

作用によって、RNAの中

に「結び目」のような構造

が形成される。塩基の一つ

「グアニン」が作る安定的

な構造「G4」が誘導され

ることによって、タンパク

質を作る小器官(リボソ

ム)の働きが強力に抑制さ

れ、結果として狙ったタン

パク質だけを作らせないよ

うにできる。

※研究グループの資料を基に作成

「RNAハッキング」の仕組み

標的mRNA

グアニン

繰り返し

ステープル核酸

G4構造

リボソーム(タンパク質合成)

STOP

STOP

ステープル核酸

□ 標的mRNAの構造を変化させることで薬効を発揮する

□ タンパク質量の増減調節、ウイルス増殖抑制などの制御が可能

□ 遺伝子配列選択的に作用するために副作用が少ない

※研究グループの資料を基に作成

従来の遺伝子医薬では、

体の中の酵素の力を借りて

mRNAを分解していた

が、今回の方法は酵素に頼

らず、RNA構造そのもの

を変えて、病気の原因とな

る遺伝子を選択的に標的に

できるため、難治性・希少

疾患に効果があり、副作用

を大幅に低く抑える可能性

がある。

研究では、心臓の病気に

関係する遺伝子を狙って実

験を行い、マウスの心臓で

病気を引き起こすタンパク

質が減ることを確認。心臓

の肥大や機能低下を防ぐ効

果も確認された。

研究成果は15日、国際的

な科学雑誌「ネイチャー・

バイオメディカル・エンジ

ニアリング」に掲載された。

(菊谷賢)

弘前大学理工学研究科

E-mail:r_koho@hirosaki-u.ac.jp

「問合せ先」

東奥日報社が無断で

転載することを禁止します。

許諾したものです。

東奥日報社が利用を

※この画像は当該ページに限って

難治性治療薬へ道

弘前大のチームは理論の

確立に中心的な役割を担

い、試験管内のRNA実験

を主導した。

萩原正規・同大学院理

工学研究科准教授は「この

技術は、これまで治療が難

しかった心臓病や遺伝性の

病気にも応用できる可能性

がある。ステープルバイオ

社の技術を基に、臨床応用

を進めていきたい」と話し

た。

研究成果は15日、国際的

な科学雑誌「ネイチャー・

バイオメディカル・エンジ

ニアリング」に掲載された。

(菊谷賢)