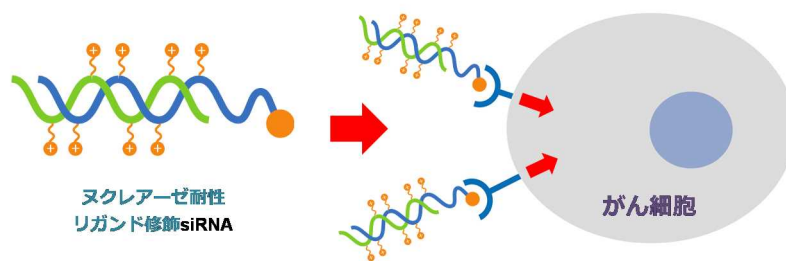


平成 27 年度 全体研究開発報告書

1. 事業名：革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業
2. 研究開発課題名：組織特異的送達能を有するコンジュゲート siRNA の創成
3. 研究開発代表者：上野 義仁
4. 研究開発の成果

siRNA は、その特異性と安全性の高さから、次世代医薬品候補として大きな期待をもたれているが、体内での不安定性や、標的細胞、組織への効率的な送達が課題となり、未だ医薬品として世に出ているものはない。本研究開発では、上記課題を克服する為に、1) siRNA に新規化学修飾を施して、生体内でも安定な siRNA を創出し、2) がん細胞表面に過剰発現している受容体を標的とした化合物をコンジュゲートとして、上記安定化 siRNA と組み合わせることにより、シンプルで有効性と安全性に優れた核酸医薬を創出する。



本年度は、細胞膜透過性及びヌクレアーゼ耐性を高めた新規 siRNA を合成するための基質となるヌクレオシド誘導体並びにパイロット分子の合成を行った。また、合成した siRNA の細胞レベルでの抗がん活性についても評価した。