

## 【論文紹介】 GalNAc による DDS(4)

### ～GalNAc 結合型 ASO 「Eplontersen」～



今回も、GalNAc 結合型 ASO に関するレビューをご紹介します。2023 年 12 月に米国で承認された Eplontersen (Wainua™)について要約しています。Eplontersen は、トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー (ATTRv-PN) に対する治療薬で、トランスサイレチン (TTR) の産生を抑制するよう設計された GalNAc 結合型 ASO です。

#### ▶ Eplontersen: First Approval Eplontersen : 初の承認

Eplontersen (Wainua™)は、野生型および変異型 TTR mRNA に結合することで循環 TTR タンパク質レベルとアミロイド沈着を低下させることができる GalNAc 結合型 ASO です。ATTRv-PN 患者を対象とした第 III 相試験において、皮下投与することで血清 TTR 濃度を低下させ、神経障害の進行を抑制し、QOL の改善が確認されたと言います。ATTR 心筋症を対象とした第 III 相開発も進行中であり、2023 年末の米国での承認を皮切りに、EU、英国、スイス、カナダでも承認審査中であると述べられています。

ここでは、ATTRv-PN に対する Eplontersen 初承認に至るまでの開発のマイルストーンについて要約しています。そして、長期安全性および忍容性については、36 カ月非盲検延長試験で評価される予定であることも言及しています。

Nie, Tina. "Eplontersen: First Approval." *Drugs* (2024): 1-6.

### そのオリゴ合成、承ります！

文献のアプリケーションには、日本遺伝子研究所のオリゴヌクレオチドをお勧めします！

各種アンチセンスオリゴヌクレオチドの合成（ホスホロチオエート、リボース 2'位修飾など）を承ります。

アンチセンスオリゴヌクレオチド（S 化、2'位修飾 (2'-MOE) )  
⇒[詳細はこちら](#)

GalNAc 修飾オリゴヌクレオチド  
⇒[詳細はこちら](#)