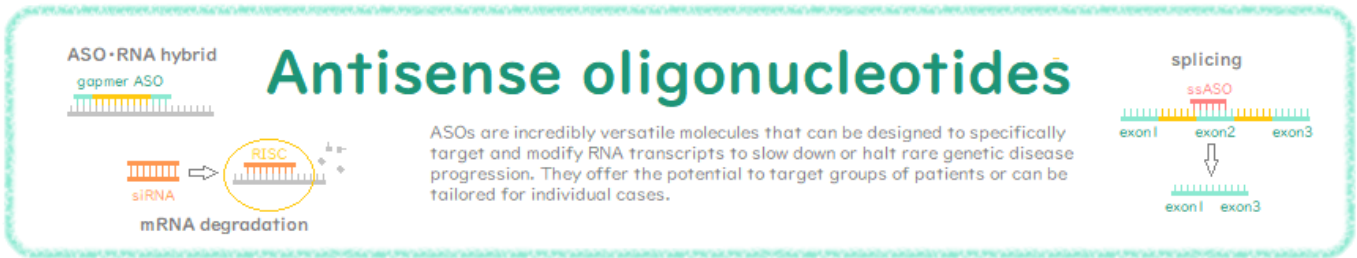


【論文紹介】 ASO 治療戦略 ～単一遺伝子疾患治療における ASO への期待と現状～



アンチセンスオリゴヌクレオチド (ASO) については、一定数以上の患者グループを対象とするケースが多く取り上げられますが、個々の症例に合わせて調整することも可能です。そのため、既知の症例が数例しかない疾患に対する治療法としても期待されていると言われています。今回は、希少疾患の単一遺伝子治療に対する ASO の現状に関するレビューをご紹介します。

► Possibilities and limitations of antisense oligonucleotide therapies for the treatment of monogenic disorders

単一遺伝子疾患の治療におけるアンチセンスオリゴヌクレオチド療法の可能性と限界

希少疾患治療の高いニーズに対して、治療法開発には未だ期待に応えきれていない現状があるとしています。単一遺伝子変化によって引き起こされることが多いため、希少疾患の ASO ベースの薬剤は有望視されています。ここでは、単一遺伝子疾患の治療における ASO ベースの治療薬の現在の可能性と限界について概観しています。筆者らは、疾患の病態生理学や病原性変異体のタイプによる ASO の恩恵を受ける可能性の有無、開発開始前に考慮しなければならない事項、適用できる ASO アプローチ、ASO 療法に適さない可能性のある疾患、ASO が介入できる疾患を拡大するために克服すべき潜在的な課題などについてレビューしています。大切なのは、特定の疾患に対して他のどのような治療戦略が利用可能であるか、あるいは現在研究中であるか、最終的に患者にとって何が最良の戦略となるかを評価することであるとしています。そして、技術的な可能性や限界の熟知、介入時期や期待される臨床効果への考慮、安全性への配慮、有害事象の制限が重要視されています。今後の技術進歩により、ASO で治療可能な疾患の種類は広がるだろうと筆者らは展望しています。

Lauffer, Marlen C., et al. "Possibilities and limitations of antisense oligonucleotide therapies for the treatment of monogenic disorders." *Communications Medicine* 4.1 (2024): 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！

レビューで登場した、ASO や siRNA の合成を承ります。

その他、様々なオリゴヌクレオチド合成や修飾も承りますので、是非ご相談ください。