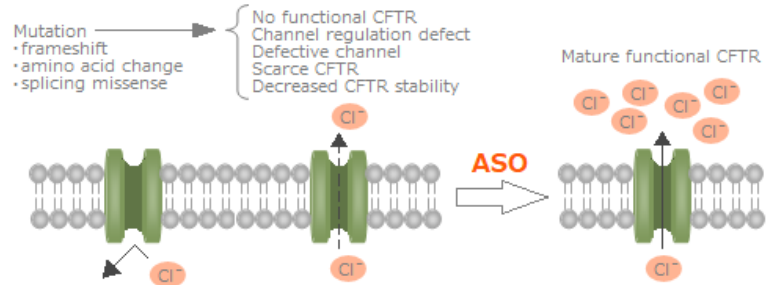


# アンチセンスオリゴヌクレオチド

## Antisense oligonucleotides

Mutations in the CFTR gene cause CF. Although Trikafta and other CFTR-modulation therapies benefit most CF patients, there is a significant unmet therapeutic need for a subset of CF patients. ASO technology has become an attractive therapeutic modality for various diseases. Ongoing research and improvements in ASO technology, together with a better understanding of RNA regulatory mechanisms, may provide new therapeutic modalities for CF patients with unmet therapeutic needs.



標的遺伝子の発現を調節することができるアンチセンスオリゴヌクレオチド (ASO)。今回は、嚢胞性線維症 (CF) に対する ASO 療法の可能性に焦点を当てた論文をご紹介します。

### ▶ Antisense Oligonucleotide Therapeutics for Cystic Fibrosis: Recent Developments and Perspectives 嚢胞性線維症に対するアンチセンスオリゴヌクレオチド治療薬：最近の進展と展望

嚢胞性線維症 (CF) は、嚢胞性線維症膜貫通導調節因子 (CFTR) 遺伝子の変異により発症します。現在、一般的に行われている CFTR 調節療法は多くの CF 患者に有効ではあるものの、一部の CF 患者には未だ十分とは言えず、アンメットメディカルニーズの存在が指摘されています。筆者らは、このニーズのギャップを埋めるプレシジョンメディシンとしての有効性と安全性を有する ASO に着目しており、ASO 療法の作用機序についてまとめながら、CF に対する ASO 療法の可能性とその課題について著述しています。さらに、その現状と展望についても考察しています。

筆者らは、様々な ASO 化学修飾に対する安全性プロファイルやエアロゾル化による局所送達の有用性にも言及しています。CF に対する ASO 療法の改善の余地は大いにあるとしながらも、多々ある開発中の ASO において研究と改良が推進されることで、治療ニーズが満たされていない CF 患者に新しい治療法が提供できる可能性が示唆されています。

Kim, Young Jin, and Adrian R. Krainer. "Antisense oligonucleotide therapeutics for cystic fibrosis: recent developments and perspectives." *Molecules and cells* 46.1 (2023): 10-20.

### 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！

登場した、ASO 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。

アンチセンスオリゴヌクレオチド (S 化、2' 修飾)

⇒[詳細はこちら](#)

架橋型人工核酸 (LNA、cEt)

⇒[詳細はこちら](#)

GalNAc 修飾オリゴヌクレオチド

⇒[詳細はこちら](#)