

索引

数字

2'-amino LNA	26
2'-F	76
2'-MOE	76
2'-NH ₂	77
2'-OMe	76
2D-LC-MS	161
5-AZA-2'-deoxycytidine	134
5-AZA-CdR	134
5-メチルシチジン	53
5-メチルシトシン	78
5'キャップ	53

和文

あ	
アクティブターゲティング	97
アゴニスト	47
アジアロ糖タンパク質受容体	97
アジアロ糖タンパク質レセプター	115
アプタマー	3, 7, 44, 45, 75
アミロイドポリニューロパチー	192
アンジェルマン症候群	143
安全性評価	174
アンチセンス	75
アンチセンス医薬	6
アンチセンスオリゴヌクレオチド	109
アンチセンス核酸	23, 158

い	
イオン交換クロマトグラフィー	158
イオンペア逆相クロマトグラフィー	162
移植片対宿主病	100
遺伝性対側性色素異常症	133
インターフェロン	133

え	
エカルディ・グティエール症候群	133
エキソヌクレアーゼ	123
エクソン・スキップ	180
エクソンスキッピング	75
エンタルピー変化	74
エンドサイトーシス	114
エンドソーム脱出	117
エンドヌクレアーゼ	123
エントロピー変化	74

お	
オフターゲット効果	32, 152
オフターゲット作用	145
オフターゲット毒性	152
オリゴヌクレオチド	23
オンターゲット作用	145
オンパットロ	192

か	
ガイドRNA	132
架橋型核酸	76
核酸医薬 CMC	164

核酸医薬動態評価	173
核酸医薬品質評価	173
核酸医薬レギュラトリーサイエンス	171
核酸医薬レギュラトリーサイエンスシンポジウム	172
核酸分解酵素	122
家族性高コレステロール血症	188
肝細胞増殖因子	48
間質組織	92

き	
基礎研究部会	173
ギブス自由エネルギー変化	74
逆相クロマトグラフィー	161
キャッピング酵素	53
キャップアナログ	53
キャピラリー電気泳動	158
筋萎縮性側索硬化症	17

く	
クラスエフェクト	145
グルカゴン様ペプチド-1受容体	99
グルコース搭載ナノ粒子	93
グルコーストランスポーター1	98
クロマチン制御	139

け	
経口投与	103
経肺投与	104
経鼻投与	105
血液脳関門	38, 92, 98
結合定数	78

原発性高カイロミクロン血症… 188

こ

抗核酸医薬抗体… 148

抗がん剤… 62

厚生労働省… 172

高速液体クロマトグラフィー… 158

抗体—薬物複合体… 95

抗体医薬… 3

抗PD-1抗体… 134

高TG血症… 191

国立医薬品食品衛生研究所… 174

国立衛研… 174

固相合成法… 165

コンジュゲート… 190

コンジュゲート製剤… 89

さ

サイズ排除交換クロマトグラフィー
… 158

細胞機能の制御… 61

細胞質移行性… 91

細胞質DNAセンサー… 148

細胞質RNAセンサー… 148

細胞内移行性… 91

細胞膜透過… 110

し

シード領域… 31

糸球体ろ過… 113

試験管内転写反応… 52

自己複製RNA… 57

脂質代謝異常… 186

脂質ナノ粒子… 52, 88, 111, 127

肢帯型筋ジストロフィー2C… 184

質量分析… 157

ジメチルアミノホスホロリデート
法… 82

修飾核酸… 74, 76

修飾ヌクレオシド… 53

シュドウリジン… 53

受動的ターゲティング… 90

腫瘍… 65

新規安全性評価技術… 173

腎クリアランス… 114

神経セロイドリポフスチン病… 17

す

スカベンジャーレセプター… 115

スタチン… 186

スピ니라ザ… 192

せ・そ

製剤… 88

生体バリア… 92

脊髄性筋萎縮症… 28, 192

相同組換え… 68

相分離… 140

た

タスクフォース… 173

脱アミノ化… 130

単一対象被験者… 16

短鎖干渉RNA… 110

タンパク質結合… 113

ち・つ

チオホスホロアミデート誘導体… 86

長鎖ノンコーディングRNA… 137

椎間板… 55

て

低分子干渉RNA… 49

デクチン1受容体… 99

デコイ… 75

デコイ核酸… 3

デコンポリューション… 158

デュシェンヌ型筋ジストロフィー
… 27, 178

転移RNA… 131

と

トキソルピシン… 49

ドラッグデリバリーシステム
… 49, 122

トランスグリコシル化… 26

トランスサイトーシス… 93

トランスフェリン受容体… 98

トランスポゾン… 132

トリグリセリド… 187

トロンピン… 65

な～の

ナノ医薬… 88

ナノカプセル… 64

日本医療研究開発機構… 172

ニューロテンシン受容体… 99

ヌクレアーゼ… 76, 122

能動的ターゲティング… 90

は

バイオアベイラビリティ… 113

配列相同性… 190

パターン認識受容体… 51

バックリング… 78

パラスベックルタンパク質… 154

ひ

非相同末端結合… 68

非翻訳領域… 52

非膜性構造体… 140

標的組織指向性… 90

品質評価… 172

ふ

フィブラート…………… 189
 フクチン遺伝子…………… 183
 福山型筋ジストロフィー…………… 183
 プレオーガナイゼーション…………… 76
 分子デバイス…………… 60
 分子デリバリー…………… 62
 分子マシン…………… 63

へ

ヘテロ核酸…………… 7
 ヘテロ二本鎖核酸…………… 117
 変形性関節症…………… 55
 ベンチャー企業…………… 191

ほ

ホスホロアミダイト法…………… 85
 ホスホロチオエート…………… 125, 147
 ホスホロチオエート結合…………… 26
 翻訳制御…………… 59

ま・み・も

マンノース受容体…………… 100
 ミトコンドリア毒性…………… 147
 毛細血管透過…………… 113
 モルフォリノ核酸…………… 74, 81, 110

や・ゆ

薬物輸送システム…………… 65
 融解温度…………… 76
 ユニットPIC…………… 92

り・れ

リガンド連結核酸医薬…………… 95
 レトロトランスポゾン…………… 132

欧文

A

ADAR…………… 131
 ADAT…………… 131
 ADC…………… 96
 adenosine deaminase acting on
 RNA…………… 131
 adenosine deaminase acting on
 tRNA…………… 131
 AFM…………… 61
 AGS…………… 133
 AJIPHASE®…………… 84, 165
 ALS…………… 133
 Alu 配列…………… 132
 AMED…………… 172
 AmNA…………… 77
 amyotrophic lateral sclerosis…………… 17
 antagoniR…………… 42
 anti-reverse cap analog…………… 53
 antibody drug conjugate…………… 95
 antibody oligonucleotide conjugate
 ……………… 98
 antimiR…………… 42
 AOC抗体オリゴヌクレオチド複合体
 ……………… 98
 ApoB…………… 187
 APOBECファミリー…………… 130
 ApoC-III…………… 188
 aptamer…………… 44, 45
 ARC-1905…………… 47
 ARCA…………… 53
 ASGPR…………… 97, 115
 ASO…………… 151

B

BBB…………… 98

BDNF…………… 55
 BNA…………… 26, 76
 BP…………… 77
 bridged nucleic acids…………… 26

C

C2'-endo…………… 78
 C3'-endo…………… 76
 Cas13…………… 135
 casimersen…………… 81
 cEt…………… 77
 cgDNA…………… 39
 COVID-19 ワクチン…………… 51
 CpG オリゴ…………… 75, 111
 CpG モチーフ…………… 147
 CRISPR/Cas9…………… 67, 134
 cytosolic genome DNA…………… 39

D

DDS…………… 49, 122
 deamination…………… 130
 DMD…………… 178
 DNA/RNA ヘテロ 2 本鎖核酸…………… 38
 DNA アプタマー…………… 64
 DNA オリガミ…………… 60
 DNA 切断ドメイン…………… 68
 DNA デバイス…………… 63
 DNA ナノテクノロジー…………… 60, 113
 DNA ナノロボット…………… 63
 DNA 認識・結合ドメイン…………… 68
 DNA の二重鎖切断…………… 67
 Dox…………… 49
 DSB…………… 67
 DSH…………… 133
 Duchenne muscular dystrophy…………… 178
 E
 ENA…………… 76

- enhanced permeability and retention 91
 EPR 効果 91
 eteplirsen 81
- F**
 FCMD 183
 FIAU 147
 FRET 118, 119
 FUS-ALS 17
- G**
 GalNAc 97
 gapmer 24, 109
 GENCODE 138
 glucose transporter 1 94
 GLUT1 94, 98
 golodirsen 81
 graft versus host disease 100
 gRNA 132
 guanidine-bridged nucleic acid 26
 GuNA 26, 77
 GvHD 100
- H**
H-ホスホネート法 84
 HDO 117
 HDO-antimiR 42
 HDR 68
 heteroduplex oligonucleotide 117
 HGF 48
 HIV-Tat タンパク質 105
 HOTAIR 140
 HPLC-UV 法 161
 HT-SELEX 50
- I**
 $\Delta G^\circ 37$ 79
- ΔH° 79
 ΔS° 79
 IFN 133
 Initiative on Rare and Undiagnosed Disease 20
 IRUD 20
 IRUD beyond 20
- K · L**
 KT6 173
 LC-MS 法 161
 LDL 受容体 187
 lipid nanoparticle 88, 111
 LNA 26, 76, 189
 lncRNA 137
 LNP 52, 88, 111, 127
 locked nucleic acids 26
- M**
 Macugen 46
 MALAT1 141
 MDA5 53, 133
 melanoma differentiation-associated protein 5 133
 Met 48
 Methoxy PEG-PCL 105
 Milasen 17
 microRNA 31
 miRNA 31, 34
 miRNA mimic 75
 MPEG-PCL 105
 mRNA 医薬 51
 mRNA ワクチン 51
- N**
 N1-メチルシュードウリジン 53
N-アセチルガラクトサミン 97
 n-Lorem 18
- N-of-1 16
 NEAT1_2 140
 NHEJ 68
 NOX-A12 47
 Nusinersen 28
- O**
 off-target 効果 135
 Olaptased pegol 47
 Oligonucleotide therapeutics society 19
 OSWG 174
 OTS 19
- P**
 PCSK9 188
 PEG 被覆 91
 Pegaptanib 46
 phosphorodiamidate morpholino oligonucleotide 81
 phosphorothioate 修飾 111
 PMO 78, 81
 PNA 71, 78
 PRR 51
 PS 77, 125, 147
 PS 結合 26
 PS 体 26
- R**
 RBP 138
 RIG-I 51
 RISC 31
 RNA-タンパク質複合体 31
 RNA 干渉 62
 RNA 結合タンパク質 138
 RNA サイレンシング 34
 RNA 編集 130
 RNase A 123

- RNase H 151
 RNase H 依存型アンチセンス核酸
 151
 RNP 複合体 138
 ROC 解析 153
 RS 172
 RUNX1 55
- S**
- SELEX 44, 45
 siRNA 7, 31, 49, 75, 110, 159
 small interfering RNA 7, 110
 SOMAmer 49
 Spiegelmer 47, 49
 splice-switch 24
 splice-switching oligonucleotide
 193
- SSO 193
 strand invasion 71
 systematic evolution of ligands by
 exponential enrichment 44
- T**
- Tat 105
 TEM 61
 Tfr 98
 TG 187
 The Oligonucleotide Safety Working
 Group 174
 thiophosphoramidate morpholino
 oligonucleotide 86
 TLR 51, 110, 147
 T_m 76
 TMO 86
- Toc-HDO 38
 Toll 様受容体 147
 Toll 様レセプター 110
 tRNA 131
- U**
- UDN 18
 Undiagnosed Disease Network 18
 UV 融解曲線 76
- V · X · Z**
- viltolarsen 81
 XIST 139
 Zimura 47