

# 索引

## 数字

I型インターフェロン	180
1 Mutation 1 Medicine (1MIM)	61
2'-チオウラシル	122
2,6-ジアミノプリン	122
2'-フルオロデオキシヌクレオチド	175
2'-MOE	101
2'-O-メチル修飾	175
2'-O-メトキシエチル修飾	175
2D-LC-MS	80
3'非翻訳領域	183
3'UTR	183
5'-CP	190
5'-CP DNA	102
5'-ビニルホスホネート	170
5'-VP	170

## 和文

<b>あ</b>	
アウト・オブ・フレーム変異	40
アジュバント	136, 182
アプタマー	23
アミノプロピル修飾	176
アミロイドーシス	234, 249
アンジオテンシノーゲン	249
安全性評価	203
アンチセンスオリゴヌクレオチド	99, 246
アンチセンス核酸	14, 40, 59
アンチセンスmiRNA	27
<b>い</b>	
イオン化脂質	134
イオンペア逆相液体クロマトグラフィー	79
イオンペア逆相高速液体クロマトグラフィー	80
医師主導治験	62
一塩基変異	64, 65, 68

遺伝子制御	32
遺伝性希少難病	59
遺伝性トランスサイレチン型アミロイドーシス	235
遺伝性ATTR	234
陰イオン交換液体クロマトグラフィー	79
陰イオン交換高速液体クロマトグラフィー	80
インターロイキン	155
インフレーション	40

## う・え

ウイルス様粒子	170
液相合成	79
エキソサイトーシス	166
エキソヌクレアーゼ	173
エキソン・スキップ	39, 240
液体クロマトグラフィー	79
エクソソーム	170, 228
塩基部修飾	182
炎症	190
炎症シグナル	183
炎症性サイトカイン	180
炎症性疾患	183
エンドサイトーシス	142, 159, 160, 162, 163, 166
エンドソーム	165
エンドソーム脱出	165
エンドヌクレアーゼ	173

## お

オープンフィールド	189
オキサザホスホリジン法	115
オキサチアホスホラン法	115
オフターゲット効果	51
オリゴ核酸	220
オリゴヌクレオチド不純物	209
オンターゲット	214
オンパットロ®	136

## か

ガイドライン	201, 203, 225
回避	181

化学修飾	32, 80, 181
化学修飾核酸	80, 126
化学修飾の最適化	128
化学的キャップ化	127
架橋型核酸	99
核移行性	22
核イメージング	85
核酸・遺伝子医薬レギュラトリーサイエンスシンポジウム	199
核酸医薬動態評価タスクフォース	220
核酸医薬レギュラトリーサイエンス研究班	220, 221
核酸センサー	180
核酸動態TF	220
活性予測AI	71
カルバモイルエチル修飾	176
がん	227
がん核酸医薬	227
完全化学合成	127
完全化学合成mRNA	129
肝類洞内皮	150

## き

希少疾患	59
機能不全	187
キメラ型核酸	95
キメラ抗原受容体T細胞治療法	170
吸収	159, 161, 221
急性神経毒性	189
局所投与	24
筋萎縮性側索硬化症	234
筋芽細胞移植	40
筋強直性ジストロフィー1型	242
筋ジストロフィー	151
筋ジストロフィー犬	40
筋力低下	187

## く・け

クラスエフェクト	214
蛍光イメージング	84, 224
痙攣	187
血液-脳関門	86

血漿/血清タンパク結合	222
血漿タンパク質	159, 160, 163
血中滞留性	124
ゲノム解析	59
ゲノム編集	40, 136
<b>こ</b>	
後期エンドソーム	167
厚生労働省	199, 201, 203
構造活性相関研究	128
酵素ライゲーション	78
考慮事項通知	200
国立医薬品食品衛生研究所	203
固相化学合成	78
個別化医療	128, 227, 236, 237
個別化臨床試験	60
コミナティ®	133, 135
コレステロール	21, 135
コンジュゲート核酸	47
コンデンセート制御	196
<b>さ</b>	
再コーディング	31
最小薬理作用量	225
サイズ効果	89
細胞質	166
細胞ターンオーバー	145
細胞内移行性	124
細胞内動態	165
サロゲート	214
<b>し</b>	
ジアステレオマー分離法	114
糸球体ろ過	163, 164
脂質ナノ粒子	48, 153, 165, 223, 236
ジストロフィン	39
自然免疫	179
質疑応答集	201
質量分析イメージング	85
重篤筋疾患	157
腫瘍微小環境	227
情報改変	30
初期エンドソーム	167
神経過活動	188
神経疾患	233
神経毒性	237
人工核酸	14
深層学習	25

<b>す</b>	
髄腔内投与	187
水疱性口内炎ウイルス糖タンパク質	170
スカベンジャー受容体	160, 161, 162
スコアリング	189
ステーブル核酸	123
ステムループ構造	183
ステリックブロック型	20
スパイクバックス®	133, 135
スプライシング異常	230
スプライシング制御	99, 231
スプライシング制御型 ASO	71
<b>せ</b>	
製造工程由来不純物	209
製造方法	78
生体内共焦点顕微鏡	84
生体分子コンデンセート	192
静電相互作用	149
精密医療	231
脊髄性筋萎縮症	234, 235, 239, 241
前駆体 mRNA	166
穿孔	168
全身投与	25
全身投与型アプタマー	26
センチネルリンパ節	151
<b>そ</b>	
造血幹細胞	183
相互作用	177
送達 [用] リガンド	21
創薬エコシステム	62
組織分布	222
<b>た</b>	
大規模言語モデル	25
代謝	159, 163, 221
体内動態	159, 162
タイリングアプローチ	72
<b>ち</b>	
逐次縮合反応	79
遅発性神経毒性	102, 189
中枢神経	102
中枢神経系	186
長期持続性	103
長鎖非コード RNA	229

長鎖 RNA 合成	78, 80
治療濃度域	187
鎮静	188
<b>て</b>	
デュシェンヌ型筋ジストロフィー	155, 156, 239
テロメラーゼ	228
転写因子	154
<b>と</b>	
糖部修飾	106, 177
特定臨床研究	62
トコフェロール	21
トフェルセン	235
トラフィッキング	21
トランスサイレチン型アミロイドシス	137
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	136
トランスフェリン受容体	43
<b>な</b>	
ナノミセル	153, 154
軟骨	154, 155
軟骨無形成症	26
難病全ゲノムイニシアチブ	61
<b>に</b>	
二価陽イオン	188
二次構造	182
日本核酸医薬学会	199
<b>ぬ</b>	
ヌクレアーゼ	173
ヌクレアーゼ P1	174
ヌシネルセン	234
<b>ね・の</b>	
ネオ抗原	137
囊胞腎	123
ノックダウン型	20
<b>は</b>	
バイオアベイラビリティ	161
排泄	159, 163, 164, 221
ハイドロダイナミクス法	156
ハイブリダイゼーション依存的 オフターゲット	213, 216
ハイブリッド法	78

配列設計	181
パターン認識受容体	180
パティシラン	236
パラスベックルタンパク質	
.....	188, 189
パラスベックルタンパク質異常局在	
.....	103
ハンチントン病	65, 237

## ウ

ビオンテック	136
非環状型人工核酸	120
ヒト初回用量設定	224
ヒト等価用量	225
標的組織中濃度	225
病理学的検査	190
ビルトラルセン	42
品質評価	200

## フ

不完全長体	79
腹膜播種	16
福山型先天性筋ジストロフィー	243
ブトリシラン	236
プロセシングボディ	171
プロセッシング	21
プロテインコロナ	138
分布	159, 162, 221

## ヘ

米国食品医薬品局	60
ヘテロ二本鎖核酸	20
ヘルパー脂質	135
変形性関節症	154

## ホ

防御応答	179
放射性核種イメージング	224
ホスホリルグアニジン	92, 96
ホスホアミダイト法	78
ホスホチオエート結合	208
ホスホチオエート修飾	160
補体C5	24
ボラノホスフェート	92, 97
ポリエチレングリコール	135, 149

## ま

マイクロRNA	26
膜融合タンパク質	170

マクロピノサイトーシス	228
マニュアルキュレーション	73

## み

未承認新規医薬品等を用いた医療	
.....	62
未診断疾患イニシアチブ	61

## め

メシルホスホロアミデート	92, 96
メトキシプロピルホスホネート	
.....	92, 96
メリチン	169
免疫刺激剤	182
免疫刺激性	102
免疫組織化学染色	224
免疫チェックポイント阻害剤	
.....	230, 231
免疫賦活剤	136

## も

毛細血管透過性	162
モデルナ	136
モノヨード酢酸	155
モル吸光係数	210
モルフオリノ核酸	113

## や

薬剤分布	237
薬物送達システム	34, 165
薬物動態評価	205

## ゆ

融合孔	168
有窓性毛細血管	221
ユニットポリイオンコンプレックス	
.....	149

## ら・り・れ

ラマン分光法	155
リガンド	86
リガンドコンジュゲート核酸	141
リガンド修飾型核酸	45
リガンド修飾型LNP	47
リソソーム	167
立体異性体分布	208
立体制御	94
立体選択的合成法	114
理論	175
リン酸ジエステル結合	120

臨床応用	25
レギュラトリーサイエンス	199

## 欧文

### A

A型二重らせん	121
AAVベクター	40
active targeting	138
ADAR	31
ADPKD	123
Aging switch	27
AI	24
ALC-0315	135
AMED	199
AmNA	100
AMO	15
ANGPTL3	248
arcRNA (architectural RNA)	196
Argonaute	174
ASO (antisense oligonucleotide)	
.....	14, 59, 65, 66, 67, 99, 148, 176, 183, 246
A-to-I変換	31
ATTRアミロイドーシス	137, 249
ATTRvアミロイドーシス	235

### B・C

BIIB078	237
C9orf72遺伝子変異ALS	237
CAGリピート	65, 66
CAR-T細胞治療法	170
CINRG	42
CRISPR-Cas9	174

### D

D3G	53, 54
Danvatirsen	230
DDI	221
DDS	24, 34, 45, 84, 165
DLin-MC3-DMA	134
DMI	242
DMD (Duchenne muscular dystrophy)	
.....	155, 156, 239, 240
DMD遺伝子	39
DNase II	175
Duchenne型筋ジストロフィー	38

## E

endogenous targeting ..... 138  
 EPOC (European Pharma Oligonucleotide Consortium) ..... **208**  
 exocytosis ..... **166**

## F

FCMD (Fukuyama congenital muscular dystrophy) ..... 243  
 FDA ..... 60  
 FGF2 ..... 26  
 FRET ..... **86**

## G

G4構造 ..... **124**  
 GALA/KALA ペプチド ..... **169**  
 Galectin-9 ..... 84  
 GalNAc (*N*-acetylgalactosamine) ..... **46, 223, 236, 247**  
 gapmer ..... 14, 71, 124  
 Gapmer型 ASO ..... **124**  
 genome editing ..... **136**  
 GGenome ..... 51  
 G-quadruplex ..... **124**  
 GuNA ..... **102**

## H

H-ホスホネート法 ..... **116**  
 HDO ..... 20, 22, 151  
 HDO 核酸 ..... 22  
 HLV 法 ..... 156, 157  
 HSAB ..... 175

## I

ICH Q3A ..... 209  
 ICH Q5E ..... 211  
 ICI ..... **230, 231**  
 iExosomes ..... 228  
 IHC ..... 224  
 Imetelstat ..... 228  
 inclisiran ..... 247  
*in vivo* CAR-T 療法 ..... 139  
 ionizable lipid ..... **134**  
 iPS細胞 ..... 40  
 IRAV (intron retention-associated variant) ..... 230  
 IRUD ..... **61**  
 ISH (*in situ* ハイブリダイゼーション) ..... 85, 224

## K

k-abe ..... 138  
 KRAS ..... **65, 66, 67, 68, 228**

## L

L- $\alpha$ TNA ..... 120  
 LC-MS ..... 80  
 LNA ..... 100, 121  
 lncRNA (long non-coding RNA) ..... 229  
 lncRNA 創薬 ..... 192  
 LNP (lipid nanoparticle) ..... **34, 47, 48, 133, 148, 153, 165, 236**  
 long noncoding RNA ..... 192  
 Lp(a) ..... **248**  
 lysosome ..... **167**

## M

mdx マウス ..... 40, 156  
 mFOLFIRINOX 療法 ..... 231  
 milasen ..... 236  
 miR-21 ..... 123  
 miRNA (microRNA) ..... 26  
 miRNA 阻害剤 ..... **27**  
 miRNA ミミック ..... **27**  
 miRNA 模倣体 ..... **27**  
 miRNA-like Off-target ..... **108**  
 MIRX002 ..... 28, 29  
 mRNA ..... 135  
 mRNA 医薬 ..... 126  
 mRNA 医薬品 ..... 157  
 mRNA 前駆体 ..... 229  
 mRNA 創薬 ..... **34, 153**  
 mRNA 分解酵素 ..... 183  
 mRNA ワクチン ..... **153, 157**  
 MSI ..... 85  
 myotonic dystrophy type 1 ..... 242

## N

N=1 Collaborative ..... 61, 237  
 natural history 研究 ..... 42  
 N of 1 試験 ..... 43  
 N-of-1 創薬 ..... **36, 59**  
 N-of-1 治療 ..... 236  
 n-Lorem 財団 ..... 60  
 Nusinersen ..... 242

## O

Open-IND ..... **111**

OSWG (Oligonucleotide Safety Working Group) ..... **201**

## P

p54nrb ..... 190  
 PAMPs/DAMPs ..... **180**  
 passive targeting ..... 138  
 P-body ..... 170, **171**  
 PCSK9 ..... 247  
 PEG ..... **135, 149**  
 PGC-1 $\alpha$  ..... 156  
 phosphorothioate ..... **186, 188**  
 PIC ..... 149  
 PK-PD 乖離 ..... 225  
 PLys ..... 149  
 PMDA ..... 200  
 PMO ..... **41**  
 pre-mRNA ..... **166, 229**  
 prion 病 ..... **111**  
 protein corona ..... **138**  
 PS 結合 ..... 67  
 PS 修飾 ..... 160, 163, 186

## Q

Q&A ..... 201  
 QWBA 試験 ..... 222

## R

RDWG ..... **61**  
 Ready-to-Use 製剤 ..... 139  
 Remudy ..... **42**  
 REO ..... **30**  
 revertant fiber ..... 40  
 RNA 干渉 ..... 17, 18  
 RNA スプライシング ..... 229  
 RNA データベース ..... 217  
 RNA ハッキング ..... 123  
 RNA 編集 ..... 30  
 RNA 編集核酸 ..... 30  
 RNA リガーゼ ..... 81  
 RNA ワクチン ..... 133  
 RNase A ..... 175  
 RNase H ..... 14, 21, 99, 174, 176  
 RNase H 活性 ..... 177  
 RNase T2 ..... 175  
 RS シンポジウム ..... 199  
 RUNX1 ..... 154, 155

**S**

scpBNA ..... 100  
 SELEX法 ..... 23  
 sgRNA ..... 80  
 siDirect ..... 57  
 siRNA (small interfering RNA)  
 ..... 17, 65, 133, 148, 174, 246  
 siRNA 医薬品 ..... 17  
 SM-102 ..... 135  
 SMA (spinal muscular atrophy)  
 ..... 234, 235, 239, 241  
 SNA ..... 120  
 SNP ..... 64, 66, 67, 176  
 SNV ..... 64  
 SOD1 遺伝子変異型筋萎縮性  
 側索硬化症 ..... 235

SORT ..... 138  
 SSO ..... 15  
 STAT3 ..... 230  
 surrogate oligonucleotide ..... 214  
 SYT13 ..... 16

**T**

TfR ..... 47  
 TGF- $\beta$ 1 ..... 152  
 TGF- $\beta$ 2 ..... 231  
 tiling approach ..... 72  
 TMC ..... 42  
 TME ..... 227  
 tominersen ..... 237  
 Trabedersen ..... 231  
 TREAT-NMD ..... 42

TUG1 ASO ..... 229

**U**

Universal Health Coverage ..... 63  
 uPIC ..... 86, 149

**V**

VEGF ..... 24  
 VLP ..... 170  
 VSV-G ..... 170

**W · Y**

WVE-004 ..... 237  
 YBC ..... 149