

ヘテロ2本鎖核酸（HDO） トライアルサービス

ご指定の配列およびリガンドにて **リガンド付きHDO*** を提供いたします

* リガンド付きHDOは 株式会社日本触媒 が レナセラピューティクス株式会社 よりライセンスを受けて提供いたします

■ サービス内容

【 合 成 】 各種修飾核酸およびリガンドに対応します

【 精 製 】 LC精製（RP, IEX）

【2本鎖形成】 アニーリング

【 乾 燥 】 凍結乾燥

【 標 準 試 験 】 RP-UHPLC および MS（1本鎖）
非変性PAGE（2本鎖）

【 注 意 事 項 】

- サンプル量の上限は30mgです。
- 試験研究用途に限ります（ヒトを対象とする試験には使用できません）。
- 脂肪酸合成酵素遺伝子を標的とした配列はお断りさせていただく場合がございます。



■ ご利用の流れ

①お問合わせ

ご要望（配列・数量・品質等）について
何でもお気軽にご相談ください

②お見積り

お問合わせ内容をもとに
お見積りをご提示します

③サンプルご提供

お見積りの内容に従い
サンプルをご提供します

お問合わせ先

トライアルサービスについて

日本触媒 

- 担当 : 健康・医療事業推進本部
- Email : health_medical@shokubai.co.jp

HDO技術について



- 担当 : 清水
- Email : info@renatherapeutics.com

国内外の企業ならびにアカデミアのお客様、ご利用を心よりお待ちしております。

ヘテロ2本鎖核酸（HDO） 核酸医薬のプラットフォーム技術

レナセラピューティクス株式会社 | <https://www.renatherapeutics.com/> | info@renatherapeutics.com

■ HDOの構造

HDOは、アンチセンス鎖（Gapmer、Mixmer、PMOなど）と、それと相補的なキャリアー鎖（RNA）との2本鎖で構成される人工機能核酸です



アンチセンス鎖

薬効として機能

キャリアー鎖

アンチセンス鎖（薬効）を
疾患部位へ送達する

Ligand

特定の受容体に特異的に結合する物質をキャリアー鎖に結合
させることで、アンチセンス鎖をターゲットとなる疾患部位へ送達する

■ HDOの作用機序

RNaseH依存性アンチセンス効果の作用機序は次の通りです。

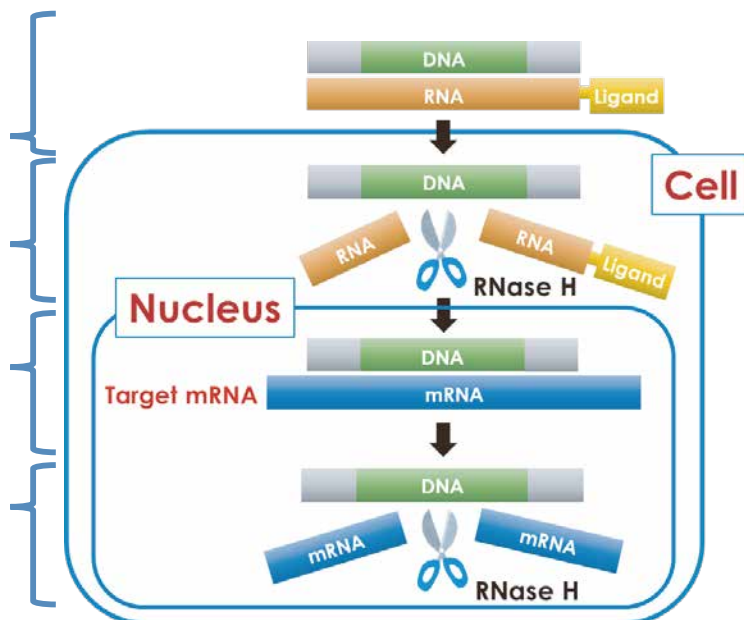
Step1 : HDOが細胞内に入る

Step2 : 細胞内のRNaseHによりHDOのキャリアー鎖（RNA）が切断される

Step3 : アンチセンス鎖（DNA鎖）が細胞核内などでターゲットmRNAと2本鎖を形成する

Step4 : RNaseHによりターゲットmRNAが切断されることで、mRNAの発現が抑制され、薬効が発揮される

※HDOはRNaseH非依存性アンチセンス効果（例えばエクソスキッピング）にも対応可能です。



■ HDO技術の強み ノックダウン活性

リガンド結合HDOは、
ASOよりも格段にノックダウン活性が優れています。

In vivo試験でノックダウン活性を比較した結果、
Toc-HDOは標的mRNAの95%をノックダウンし、
ASOやToc-ASOと比較し、格段に強いノックダウン活性を示しました。

Reagent : Saline, ASO, Toc-ASO, HDO, Toc-HDO ※Toc=Tocopherol
Target : ApoB mRNA
Subject : c57BL/6J (n=5)
Dose : 200 nmol/kg (0.87 mg/kg as antisense strand for all reagents)
Administration : Single bolus iv
Time : 3 days after dosing

* : Compared to Saline p<0.05
*** : Compared to Saline p<0.001
+++ : p<0.001

マウス肝臓におけるHDOとASOのノックダウン活性の比較

