

第2回 再生医療産学連携テクノオークション

日時 2019年3月21日(木) 17:00 -18:30
場所 神戸国際展示場 (第3会場)

遺伝子編集技術を用いたRett症候群の治療薬の開発

“Never Rett Me Alone Project”

「忘れていたあの日を取り戻す治療薬」の創薬に向けて

レット症候群は主に女兒に発症し、多彩な神経症状が年齢依存性に出現する神経発達障害です。病因遺伝子としてX染色体上(Xq28)にあるmethyl CpG binding protein 2遺伝子(MECP2)が同定されています。MECP2は転写制御、クロマチンリモデリング、マイクロRNAの制御などに関与し、神経シナプス機能、神経幹細胞分化における運命決定など多彩な機能が報告されています。本プロジェクトの目的は、26歳時に初めてレット症候群と診断された言語能力保持型レット症候群患者様の治療薬を開発することです。患者様には情動行動障害、錐体外路症状、非24時間周期の睡眠・覚醒パターンの障害などが認められています。DNA塩基配列解析の結果、MECP2蛋白のC末端側に5塩基欠損が認められ、変異MeCP2蛋白ではメチルCpG結合部位、転写抑制領域、核移行シグナル、WWドメインなどの重要な機能領域は保存されていました。現在、我々は患者由来変異MECP2の細胞内での機能を解析する目的でCRISPR/Cas9システムを用いて患者由来変異MECP2ノックイン細胞株を樹立しています。今後、MECP2の下流の分子であるmiR-199aの発現などを指標に既存薬剤やケミカル・ライブラリーを用いてスクリーニングを行い、治療薬剤を探索する計画を進めています。

ふれあい東戸塚ホスピタル 総合診療内科 織本健司 orimotokenji@me.com
〒244-0806 神奈川県横浜市戸塚区上品濃16-8
TEL:045-827-2637 FAX:045-827-2637 HP:<http://www.fureai-g.or.jp/ht-hosp/>



一般社団法人日本再生医療学会産学連携ユニット
industrialization@jsrm.jp

※本イベントは、国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) 再生医療臨床研究促進基盤事業のアウトリーチ活動の一環です。