

PRESS  
RELEASE国立大学法人  
徳島大学

## (報道タイトル) 酵母で難病を救え!!

厚生労働省が「難病」指定しているリソソーム病に対し、遺伝子組換え酵母で作られた酵素を用いてマウスの治療実験に世界で初めて成功した。今後、神経症状を伴う遺伝病患者に対する新しい治療法の確立に繋がる可能性がある。研究成果は、米神経学会誌 (Annals of Neurology) に掲載される。

## (報道概要)

リソソーム酵素の遺伝子変異が原因で神経症状を示す遺伝病モデルマウスの脳室内に、特殊酵母で生産したヒト酵素を投与することにより、運動失調を改善させ、寿命を延長することに世界で初めて成功した。成功したのは、徳島大学大学院ヘルスバイotechイノベーション研究部 (薬学部) の伊藤孝司教授、辻大輔助教ら。

従来、不治の病であった遺伝病 (リソソーム病) の一部の治療が、近年哺乳類培養細胞 (CHO 細胞など) 由来の組換えヒト酵素を用いた補充療法により可能になっている。この治療法は、マンノース 6-リン酸と呼ばれる特別な目印 (糖鎖) をもつリソソーム酵素が、患者細胞表面にあるその受容体と結合して細胞内に取り込まれ、本来の働き場所であるリソソームまで輸送されることに基づいている。

今回、(独) 産業技術総合研究所・糖鎖医工学研究センターの地神芳文・千葉靖典、両博士らとの共同で、哺乳類細胞の代わりに、特殊なメタノール資化酵母 (*Ogataea minuta*) 株で生産され、哺乳類よりもマンノース 6-リン酸含量が多い組換えヒト酵素を神経難病モデルマウスの脳室内 (脳脊髄液内) に注入した。その結果、マンノース 6-リン酸を多くもつ組換え酵素は神経系細胞内に効率よく取り込まれ、ほとんど無かったリソソーム酵素活性が回復し、蓄積物質の分解も示された。また酵素注入によりモデルマウスの運動失調が改善し、寿命を延長させることに世界初で成功した。今後、酵母で生産した組換えヒト酵素が、神経難病患者に対する新しいバイオ医薬品として臨床応用される可能性がある。

## お問い合わせ先

部局名 徳島大学薬学部  
責任者 創薬生命工学分野 教授 伊藤 孝司  
担当者 伊藤 孝司 ・ 辻 大輔  
電話番号 088-633-7290 又は 9541  
メールアドレス kitoh@ph.tokushima-u.ac.jp

770-8501

徳島市新蔵町2丁目24番地

Phone.088-656-7021

Fax.088-656-7012

<http://www.tokushima-u.ac.jp>