

平成 25 年 5 月 20 日



注意：本研究の報道解禁日は平成 25 年 5 月 22 日午後 2 時米国太平洋時間（日本時間 23 日午前 6 時）です。

核酸医薬を用いた筋萎縮性疾患制圧の試み

徳島大学パイロット事業支援プログラム「RNA 干渉法による疾患関連遺伝子機能解析と治療法の開発」（代表者：田中栄二）の成果として、骨格筋に発現する骨格筋増殖抑制遺伝子であるマイオスタチンを標的遺伝子とした核酸医薬が、筋ジストロフィー症に見られる慢性筋萎縮を抑えることをオンラインの米国科学雑誌に発表しました。

（報道概要）

徳島大学の未来発達型研究プロジェクト・特色研究プロジェクトとして、平成 22 年度から 3 年間、当研究グループはパイロット研究支援事業「RNA 干渉法による疾患関連遺伝子機能解析と治療法の開発」を実施してきた。その間、骨格筋特異的に発現する TGF- β ファミリー分子のひとつで、骨格筋増殖抑制遺伝子であるマイオスタチンに着目し、慢性筋萎縮性疾患の治療への応用を模索してきたが、今回、マイオスタチンを標的遺伝子とした RNA 干渉という現象を用いて、骨格筋内でのマイオスタチン遺伝子の発現抑制を試みたところ、アテロコラーゲンを薬物輸送体として局所導入したマイオスタチン siRNA により、筋ジストロフィーモデルマウスの骨格筋量が驚くほど増加し、筋線維の肥大、筋力の増大も確認できた。RNA 干渉とは二本鎖 RNA により、その配列特異的に mRNA が分解され、遺伝子発現が抑制される現象のことで、siRNA はゲノム遺伝子に影響を及ぼさずして特定の遺伝子だけをターゲットにできるという最大の利点がある。今回のマウスを用いた実験結果では、マイオスタチン siRNA の単回投与による効果は 4 週間持続しているが、これをヒトにあてはめると、きわめて大量に投与しても数日しか効果が続かない可能性が示唆されることから、より安価で、大量に製造可能なマイオスタチン siRNA と薬物輸送体の候補を検討する必要がある。しかし、これまで、筋萎縮の進行停止とリハビリテーションのみであった筋ジストロフィー症の治療現場に、福音をもたらすものである。

本研究はオンラインの米国科学ジャーナルプロスワン（PLoS ONE）に掲載予定です。本研究の報道は、掲載日（平成 25 年 5 月 22 日午後 2 時米国太平洋時間）まで厳しく禁止されていますので、解禁前に報道することがないように十分にご注意御願います。

お問い合わせ先

部局名 HBS 研究部 口腔顎顔面矯正学分野

責任者 田中栄二

担当者 同上

電話番号 088-633-7356

メールアドレス etanaka@tokushima-u.ac.jp