

神経難病治療に道開く新型酵素 モデルマウスで治療成功 徳島大

特定の酵素が作れずに神経症状が出る難病を、遺伝子操作した哺乳類細胞に作らせた新型人酵素を投与して治療することに、徳島大・伊藤孝司教授（薬学）などの研究グループがマウス実験で成功し、米科学誌 J. Clinical Investigation に発表。伊藤教授によれば、人に応用できれば、これまで治療薬のない遺伝病の新しい治療法開発につながる可能性がある。

（報道概要）

特定の酵素が作れずに神経症状が出る難病を、遺伝子操作した哺乳類細胞に作らせた新型人酵素を投与して治療することに、徳島大などの研究グループがマウス実験で成功し、米科学誌の J. Clinical Investigation に発表。同大学の伊藤孝司教授（薬学）は「人に応用できれば、これまで治療薬のない遺伝病の新しい治療法開発につながる可能性がある」と話している。

遺伝子の異常で起きる難病、テイ-サックス病やサンドホッフ病は、神経細胞内で糖脂質を分解する酵素「HexA（ $\alpha\beta$ 鎖から構成）」を作れず、歩行障害などの神経症状が出る。

同大学などの研究グループは、チャイニーズハムスター卵巣（CHO）細胞株で改変型 β 鎖からなる HexB（ $\beta\beta$ 鎖から構成）を生産・精製することに成功。この新型酵素は、HexAと同様に糖脂質を分解でき、サンドホッフ病モデルマウスの脳内に投与したところ、タンパク分解に対する抵抗性を示し、歩行障害が改善。また投与していないマウスに比べ寿命も約8週間延びた。HexAが作れない同様の難病、テイ・サックス病に対しても副作用の少ない治療効果が見込めるといふ。

リソソーム酵素を作れずに起きる遺伝病は酵素の種類により40種以上あり、「ライソゾーム病」と総称される。

なお、国際学術誌 J. Clinical Investigation（電子版）へは3月28日4:00 PMに掲載される予定です。

お問い合わせ先

部局名 大学院医歯薬学研究部・創薬生命工学分野

責任者 伊藤孝司

担当者 伊藤孝司（総務係 鳥海）

電話番号 088-633-7290

メールアドレス kitoh@tokushima-u.ac.jp