

【Remudy ニュースレター第13号】

## モデルマウスでエクソン 45-55 スキップ治療に成功

配信日:2012年 8月28日

今回は、モデルマウスでエクソン 45-55 スキップ治療に成功した情報を提供します。

### デュシェンヌ型筋ジストロフィーのモデルマウスで

### 10個のエクソンを同時にスキップさせるエクソン 45-55 スキップ治療に成功

### －研究成果を米国科学アカデミー紀要に発表－

独立行政法人国立精神・神経医療研究センター神経研究所(樋口輝彦理事長、高坂新一所長)遺伝子疾患治療研究部の青木吉嗣研究員と武田伸一部長、並びにカナダ アルバータ大学医学部の横田俊文博士らの研究グループは、最も頻度の高い重篤な遺伝性筋疾患であるデュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)に対する「エクソン 45-55 スキップ治療」により、筋ジストロフィーモデルマウスの症状を改善させる事に世界で初めて成功しました。「エクソン・スキップ治療」は DMD に対する新たな治療法として期待されていますが、1つのエクソンを標的とした方法では、対象となる患者数に限界がありました。研究グループはアンチセンス人工核酸の組合せ(カクテル)により、エクソン 45-55 領域に遺伝子変異を持つ患者さん全てを治療できる可能性を示しました。本研究は、国立精神・神経医療研究センター精神・神経疾患研究開発費および厚生労働科学研究費補助金などの支援によって行なわれたもので、研究成果は8月6日の週に米国科学アカデミー紀要『The Proceedings of the National Academy of Sciences (PNAS)』オンライン版に掲載される予定です。

詳しくは、独立行政法人 国立精神・神経医療研究センターのHPにてご確認ください。

→ <http://www.ncnp.go.jp/index.html>

この治療を臨床応用できれば、欠失変異を持つ DMD 患者さんの 63%以上を、1種類の治療レシピで治療する事が可能になります。大きな期待が集まっています。

ニュースレター担当:木村 円 [remudy@ncnp.go.jp](mailto:remudy@ncnp.go.jp)