

精神・神経疾患研究開発費

筋ジストロフィーに対する トランスレーショナル・リサーチ

平成23年度 研究班会議プログラム

主任研究者 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 遺伝子疾患治療研究部
武田 伸一

日 時 平成 23 年 12 月 1 日(木) 10:30～17:35
平成 23 年 12 月 2 日(金) 9:00～16:45

会 場 JA共済ビル カンファレンス・ホール(1階)
〒102-0093 東京都千代田区平河町 2-7-9
TEL 03-3265-8716
<http://www.jankb.co.jp/conference-access.htm>

- ◆ 開演 30 分前より受け付けを開始します。各セッション開始予定時刻の 30 分前までに試写の上、データをスライド受付係にご提出下さい。なお、プロジェクターは液晶のみです。
- ◆ 口演 10 分、討論 5 分でお願いします。(時間厳守)
- ◆ 2 日 12 時 00 分より班員会議を行います。(場所:JA 共済ビルカンファレンス・ホール)
班員または代理の方は必ずご出席下さい。昼食をご用意しております。

第 1 日目 平成 23 年 12 月 1 日(木)

開会の挨拶 10:30~10:40 主任研究者 武田 伸一

Session I エクソン・スキッピング I 10:40~11:55 座長 武田 伸一

1. 筋ジストロフィーのエクソンスキップ療法のためのスプライシング機構の解析 ー再スプライシングとマルチエクソンスキップー

○鈴木 仁^{1,2}, 亀山 俊樹³, Vu Luyen Thi², 大江 賢治³, 前田 明³, 塚原 俊文^{1,2}

(¹北陸先端科学技術大学院大学 ナノマテリアルテクノロジーセンター, ²北陸先端科学技術大学院大学
マテリアルサイエンス研究科, ³藤田保健衛生大学 総合医科学研究所)

2. 遺伝子制御機能を持つ人工核酸の創出

○関根 光雄¹, 横内 瑛¹, 岡庭 夏己¹, 正木 慶昭¹, 原川 太郎¹, 鈴木 真¹, 山田 剛史¹, 山田 研¹, 大
窪 章寛¹, 清尾 康志¹, 青木 吉嗣², 永田 哲也², 武田 伸一²

(¹東京工業大学大学院 生命理工学研究科, ²国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾
患治療研究部)

3. ジストロフィン pre-mRNA のスプライシングを変化させる低分子化合物の探索

○萩原 正敏

(京都大学大学院 医学研究科 形態形成機構学分野)

4. スプライシングを制御するデュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療法の確立 ー低分子化合物を用いたジストロフィン遺伝子のエクソンスキッピング誘導ー

○松尾 雅文¹, 西田 篤史², 竹島 泰弘³, 八木 麻理子³, 栗野 宏之³, 李 知子³

(¹神戸学院大学 総合リハビリテーション学部, ²神戸薬科大学 臨床薬学科, ³神戸大学大学院 医学研
究科 小児科)

5. バブルリポソームと超音波併用による筋ジストロフィーモデルマウスへのモルフォリノオリゴ導入シ ステムの開発 【招待発表者】

○根岸 洋一¹, 石井 優子¹, 高橋 葉子¹, 塩野 瞳¹, 鈴木 亮², 丸山 一雄², 新槇 幸彦¹

(¹東京薬科大学 薬学部 薬物送達学教室, ²帝京大学 薬学部 生物薬剤学教室)

休 憩

11:55~13:00

6. エクソン45-55マルチ・スキッピングによるジストロフィン発現誘導と治療法の開発

【研究協力者】

○横田 俊文^{1,4}, 青木 吉嗣², 永田 哲也², 中村 昭則³, 齊藤 崇², Kanneboyina Nagaraju⁴, Eric Hoffman⁴, Terence Partridge⁴, 武田 伸一²

(¹Department of Medical Genetics, School of Human Development, Faculty of Medicine and Dentistry, University of Alberta, Edmonton, Canada, ²国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ³信州大学 医学部 第三内科, ⁴Research Center for Genetic Medicine, Children's National Medical Center, Washington DC, USA)

7. 新規アンチセンス治療法開発に向けた筋線維への核酸取り込み機構の解明

武田 伸一¹, ○青木 吉嗣¹, 永田 哲也¹, 横田 俊文^{2,3}, Terence Partridge³

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ²Department of Medical Genetics, School of Human Development, Faculty of Medicine and Dentistry, University of Alberta, Edmonton, Canada, ³Research Center for Genetic Medicine, Children's National Medical Center, Washington DC, USA)

8. SVA レトロトランスポゾンによる病的エクソントラッピングと福山型筋ジストロフィーにおけるレスキュー

【招待発表者】

○谷口(池田) 真理子^{1,2}, 小林 千浩¹, 金川 基¹, 游 智傑¹, 小田 哲也¹, 久我 敦¹, 倉橋 浩樹³, 横田 俊文⁴, 武田 伸一⁵, 戸田 達史¹

(¹神戸大学大学院 医学研究科 神経内科/分子脳科学, ²神戸大学大学院 医学研究科 小児科 こども急性疾患学, ³藤田保健衛生大学 総合医科学研究所 分子遺伝学, ⁴Department of Medical Genetics, School of Human Development, Faculty of Medicine and Dentistry, University of Alberta, Edmonton, Canada, ⁵国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

9. 機能性小分子 RNA を用いた治療戦略の検討

—対立遺伝子特異的RNAi法を用いたFOP疾患原因遺伝子特異的発現抑制— 【研究協力者】

○北條 浩彦¹, 高橋 理貴¹, 片桐 岳信², 古谷 博和³

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 神経薬理研究部, ²埼玉医科大学 ゲノム医学研究センター, ³国立病院機構大牟田病院)

休憩

14:00~14:10

10. 筋疾患の基礎研究を臨床応用するための小児科医としての準備

—小児の筋疾患の治療の指標としてのアクチグラフ—

○木村 重美, 小篠 史郎

(熊本大学大学院 生命科学部 発達小児科)

11. 遺伝子治療、および生殖医療のあり方と倫理的課題

ー筋ジストロフィー患者・家族の遺伝子医療に対する態度とニーズの実態調査ー

貝谷 久宣, ○井原 千琴, 上 良夫, 佐藤 隆雄, 矢澤 健司, 竹田 保, 田口 智久, 田野 芳博, 白木 洋, 佐藤 壽明, 佐藤 政昭, 鴫田 重夫, 山本 俊憲, 沖野 巖, 新宮 武徳, 駒場 恒雄, 佐藤 貞二, 田中 彰, 小林 喜三重, 松本 弘美, 桜沢 民夫, 鍵和田 貴実代

(社団法人日本筋ジストロフィー協会)

***** コーヒーブレイク 14:40~15:10 *****

Session IV 病態・診断

15:10~16:25 座長 山梨 裕司

12. 血清 microRNA 測定による筋ジストロフィー新規診断法の確立

ーDuchenne 型筋ジストロフィー患者血清を用いた筋特異的 microRNA の量的変化ー

【研究協力者】

橋戸 和夫¹, ○岸 宗一郎¹, 小牧 宏文², 青木 吉嗣³, 武田 伸一³

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 ラジオアイソトープ管理室, ²同 病院 小児神経科, ³同 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

13. Duchenne 型筋ジストロフィーモデルマウスの中枢異常中間表現型をヒト疾患治療に役立てるための研究

ーMdx マウスで不全となる扁桃体 GABA 性シナプス伝達: 正常マーマセットにおける検討ー

○関口 正幸¹, 山田 大輔¹, 宮島萌子¹, 和田 圭司¹, 石橋英俊², 関 和彦²

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第四部, ²同 神経研究所 モデル動物開発研究部)

14. 神経筋シナプスの可塑性メカニズムに基づいた神経筋疾患の治療法の開発

ー補体欠損マウスを使った神経筋シナプスの可塑性メカニズムの研究ー

○重本 和宏, 森 秀一, 久保 幸穂, 宮崎 剛, 福永 大地

(東京都健康長寿医療センター研究所 老年病研究チーム)

15. 神経筋シナプスの可塑性メカニズムに基づいた神経筋疾患の治療法の開発

ーagrin/MuSK シグナルの破綻による筋無力症のメカニズムついてー

重本 和宏, ○森 秀一, 久保 幸穂, 宮崎 剛, 福永 大地

(東京都健康長寿医療センター研究所 老年病研究チーム)

16. 筋疾患にかかわるシグナル制御法の研究

ーDok7 発現ペクターの作製とその投与ー

○山梨 裕司

(東京大学 医科学研究所 腫瘍抑制分野)

***** 休憩 16:25~16:35 *****

17. 悪液質の最近の展開—食欲・体重調節を中心に—

【招待発表者】

○乾 明夫, 浅川 明弘

(鹿児島大学大学院 医歯学総合研究科 社会・行動医学講座 心身内科学分野)

18. 進行期肺がん患者における体重減少と予後との関連について

【招待発表者】

○高山 浩一, 原田 大志, 中西 洋一

(九州大学大学院 医学研究院 臨床医学部門 呼吸器内科分野)

19. 漢方薬六君子湯のがん悪液質症状改善効果とそのメカニズム解明
—ラットがん悪液質モデル並びにグレリン受容体発現細胞を用いて—

【招待発表者】

○上園 保仁, 寺脇 潔

(国立がん研究センター研究所 治療開発グループ がん患者病態生理研究分野)

20. 筋萎縮の分子病態解明と新規治療法開発

—ステロイド筋萎縮の新規治療法開発に向けた探索的臨床研究—

【研究協力者】

○田中 廣壽, 清水 宣明, 吉川 賢忠

(東京大学 医科学研究所 先端医療研究センター 免疫病態分野)

***** 懇親会 JA 共済ビル カンファレンス・ホール 18:00~20:00

第2日目 平成23年12月2日(金)

Session VI 筋・幹細胞と筋再生

9:00~10:00

座長 橋本 有弘

21. 筋再生の過程で筋組織幹細胞(衛星細胞)は運動神経末端の再接着制御に関与しているかもしれない

—分化期の衛星細胞は神経軸索ガイダンス因子 Sema3A を合成・分泌する— 【招待発表者】

○辰巳 隆一¹, Mai-Khoi Q. Do¹, 佐藤 祐介¹, 三小田 よりこ¹, 清水 直美¹, 鈴木 貴弘¹, 水野谷 航¹, 中村 まこ¹, 池内 義秀¹, Judy E. Anderson², Ronald E. Allen³

(¹九州大学大学院 農学研究院 資源生物科学部門 動物・海洋生物資源学講座, ²Department of Biological Sciences, Faculty of Science, University of Manitoba, Winnipeg, Manito, Canada, ³Muscle Biology Group, Department of Animal Sciences, College of Agriculture and Life Sciences, University of Arizona, Tucson, AZ, USA)

22. プロセシング酵素 Furin の機能阻害と Myf5 陽性筋細胞の動態 【招待発表者】

○西松 伸一郎¹, 大澤 裕², 寺田 久美子¹, 田中 伸吾¹, 成田 知弘¹, 砂田 芳秀², 濃野 勉¹

(¹川崎医科大学 分子生物学1(発生学), ²川崎医科大学 神経内科学)

23. 骨格筋幹細胞移植実現を目指した基盤的研究

—Hesr1/3 を介した骨格筋幹細胞の未分化性維持機構—

○深田 宗一郎¹, 山口 賢彦¹, 米田 智廣¹, 小久保 博樹², 小川 遼¹, 上住 聡芳³, 伊藤 尊仁¹, 辻川 和文¹, 山元 弘⁴, 鈴木 友子⁵, 武田 伸一⁵

(¹大阪大学大学院 薬学研究科 細胞生理学分野, ²国立遺伝学研究所 発生工学研究室, ³藤田保健衛生大学 総合医科学研究所 難病治療学, ⁴神戸学院大学 薬学部, ⁵国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

24. 筋サテライト細胞を標的とした筋ジストロフィー治療法開発のための細胞生物学的研究

—DMD 筋細胞の特性解明: 不死化ヒト筋細胞を用いた解析—

○橋本 有弘

(国立長寿医療研究センター研究所 再生再建医学研究部)

***** コーヒーブレイク 10:00~10:30 *****

Session VII 幹細胞と再生医療

10:30~12:00

座長 梅澤 明弘

25. 筋ジストロフィーモデルマウスにおける真皮細胞より誘導した骨格筋様細胞ならびに皮膚の間葉系細胞の移植効果の検討

○大河内 仁志

(国立国際医療研究センター研究所 細胞組織再生医学研究部)

26. 筋ジストロフィーに対する細胞移植の臨床研究推進に向けた SOP 構築のための基盤研究
— 同種細胞移植を目指した *mdx* マウスに対する治療効果 —

○梅澤 明弘

(国立成育医療研究センター 生殖・細胞医療研究部)

27. ウイルスペクター及び骨髄間質細胞による筋ジストロフィー遺伝子・細胞治療
— 骨髄間質細胞を用いた筋ジストロフィー細胞治療 —

○前田 寧¹, 内野 誠²

(¹熊本大学大学院 生命科学研究部 神経内科学分野, ²杏和会城南病院)

28. 液性因子による変性骨格筋の再生療法の開発

— G-CSF によるデュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する有効性の検討 —

福田 恵一¹, ○林地 のぞみ², 湯浅 慎介¹, 伊藤 尚基³, 鈴木 友子⁴, 武田 伸一⁴

(¹慶應義塾大学 医学部 循環器内科, ²慶應義塾大学大学院 医学研究科 循環器内科, ³東京工業大学大学院 生命理工学研究科 生命情報専攻, ⁴国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

29. 間葉系前駆細胞による筋再生制御機構の解析

【招待発表者】

○上住 聡芳¹, 深田 宗一郎², 山本 直樹³, 武田 伸一⁴, 土田 邦博¹

(¹藤田保健衛生大学 総合医科学研究所 難病治療学, ²大阪大学大学院 薬学研究科 細胞生理学分野, ³藤田保健衛生大学 共同利用研究施設, ⁴国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

30. 筋萎縮における機械的ストレス感知機構の解明

— ミトコンドリアを介した無重力ストレスの感知機構 —

【研究協力者】

二川 健¹, ○河野 尚平¹, 安倍 知紀¹, 越智 ありさ¹, 近藤 茂忠¹, 平坂 勝也¹, 真板 綾子¹, 奥村 裕司¹, 東端 晃², 埜中 征哉³, 武田 伸一⁴

(¹徳島大学大学院 ヘルスバイオサイエンス研究部 生体栄養学分野, ²宇宙航空研究開発機構 宇宙科学研究所, ³国立精神・神経医療研究センター病院, ⁴国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

***** 班員会議 JA 共済ビル カンファレンス・ホール 12:00~13:00 *****

Session VIII iPS 細胞と再生医療

13:00~13:45

座長

鈴木 友子

31. 多能性幹細胞を骨格筋へ分化誘導する低分子化合物の同定

武田 伸一¹, ○鈴木 友子¹, 西山 尚志¹, 瀬川 亮^{1,2}, 中村 美穂¹, 伊藤 尚基^{1,3}

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ²東京大学大学院 総合文化研究科 広域科学専攻 生命環境, ³東京工業大学大学院 生命理工学研究科 生命情報専攻)

32. 筋発生機構に基づいた iPS 細胞からの筋前駆細胞の作成・単離法の開発

瀬原 淳子¹, 田中 章仁², 庄子 栄美^{1,2}, Knut Woltjen³, 堀田 秋津³, ○櫻井 英俊²

(¹京都大学 再生医科学研究所 再生増殖制御学分野, ²京都大学 iPS 細胞研究所 臨床応用研究部門, ³京都大学 iPS 細胞研究所 初期化機構研究部門)

33. 多能性幹細胞を用いた筋ジストロフィーに対する治療基盤開発

○平家 俊男, 栗屋 智就, 加藤 竹雄

(京都大学大学院 医学研究科 発達小児科学)

Session IX ウイルスベクターを用いた治療

13:45~14:30

座長

岡田 尚巳

34. ウイルスベクター及び骨髄間質細胞による筋ジストロフィー遺伝子・細胞治療

ーレンチウイルスベクターを用いた遺伝子治療研究

ならびに筋線維タイプ別プロモーター活性の検討ー

前田 寧¹, ○菅 智宏¹, 小出 達也¹, 内野 克尚¹, 山下 賢¹, 内野 誠^{1,2}, 木村 円^{1,3}

(¹熊本大学大学院 生命科学研究部 神経内科学分野, ²杏和会城南病院, ³国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナルメディカルセンター)

35. 各種 AAV ベクターによる筋疾患遺伝子治療に向けた基礎研究

ーdystrophin 遺伝子の AAVS1 領域への組み込みの試みー

小澤 敬也, ○ト部 匡司, 水上 浩明

(自治医科大学 遺伝子治療研究部)

36. AAV ベクターを用いた筋ジストロフィー犬免疫寛容誘導療法と機能解析

武田 伸一¹, ○喜納 裕美¹, 弓削田 直子^{1,2}, 岡田 浩典¹, 笠原 優子¹, 千代 智子¹, 岡田 尚巳¹

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ²麻布大学 獣医学部 外科学第一研究室)

コーヒーブレイク

14:30~15:00

Session X 薬物治療

15:00~15:45

座長

野口 悟

37. 筋ジストロフィーの進行性軽減療法の開発

○裏出 良博, 有竹 浩介

(財団法人大阪バイオサイエンス研究所 分子行動生物学部門)

38. ストレッチ感受性 Ca²⁺透過性チャネルを標的とした筋ジストロフィー治療薬の開発

ー筋変性疾患治療に向けた病態時の Ca²⁺透過チャネルを特異的に阻害する方法の開発ー

○岩田 裕子, 若林 繁夫

(国立循環器病研究センター研究所 分子生理学)

39. 遺伝性筋疾患の分子病態解明からの治療法開発
ーシャペロン誘導薬による縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーの治療研究ー
○野口 悟, May Christine Malicdan, 西野 一三
(国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第一部)

***** 休 憩 15:45~16:00 *****

Session XI モデル動物 16:00~16:45 座 長 武田 伸一

40. 筋ジストロフィー治療法開発に有用な新規モデルマウスの作製および DMD 関連遺伝子の機能解析
○花岡 和則
(北里大学 理学部)

41. 筋ジストロフィー関連モデル動物の生産供給システムの検討
ー筋ジストロフィー関連モデル動物の品質管理についてー
○保田 昌彦, 上迫 努, 小倉 智幸, 日置 恭司
(公益財団法人実験動物中央研究所)

42. Duchenne 型筋ジストロフィー・モデル犬 CXMD_Jにおける疾患重症度と修飾因子の解析
武田 伸一¹, ○倉岡 睦季¹, 木村 円¹, 永田 哲也¹, 小林 正典^{1,2}, 中村 昭則^{1,3}, 湯浅 勝敏⁴, 弓削田 直子^{1,5}, 岡田 尚巳¹
(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ²日本獣医生命科学大学 獣医学部 獣医繁殖学教室, ³信州大学 医学部 内科学第三, ⁴武蔵野大学 薬学部 機能形態学研究室, ⁵国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 実験動物管理室, ⁵麻布大学 獣医学部 外科学第一研究室)

閉会の挨拶 16:45 主任研究者 武田 伸一

交通機関と所要時間

- 電車でお越しの場合
 - ・東京メトロ 有楽町線・半蔵門線・南北線、「永田町駅」4番出口より徒歩2分
 - ・東京メトロ 有楽町線、「麹町駅」半蔵門方面1番出口より徒歩4分
- 都バスでお越しの場合
 - ・「平河町二丁目」下車(新橋駅～市ヶ谷駅～小滝橋車庫前)
- お車でお越しの場合
 - ・首都高速、霞ヶ関出口より5分

