

精神・神経疾患研究開発費
筋ジストロフィーモデル動物を用いた
新たな治療法の開発

平成 27 年度 研究班会議プログラム

主任研究者 国立研究開発法人 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 27 年 12 月 8 日 (火) 10:20～17:35
平成 27 年 12 月 9 日 (水) 9:00～15:50

会 場 国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター
教育研修棟 ユニバーサルホール
〒187-8551 東京都小平市小川東町 4-1-1
TEL 042-341-2712(内線 6011)教育研修棟・管理室

- ◆ 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 分をお願いします。(時間厳守)
- ◆ 9 日 12 時 05 分より班員会議を行います。(場所:教育研修棟ユニバーサルホール 多目的室)
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 27 年 12 月 8 日 (火)

開会の挨拶 10:20～10:30 主任研究者 武田 伸一

Session I 骨格筋の生物学 (日本体力医学会から) 10:30～11:30 座 長 武田 伸一

1. サルコペニアの分子メカニズム解明と新規予防法の開発 【招待発表者】

○町田 修一¹, 船越 智子¹, 藤井 嵩子², 川西 範明^{1,3}, 高木 香奈¹, 野崎 理沙¹

(¹順天堂大学大学院 スポーツ健康科学研究科, ²順天堂大学 女性スポーツ研究センター, ³日本学術振興会 特別研究員(PD))

2. マイクロ RNA-23 による筋萎縮の制御 【招待発表者】

和田 正吾¹, 加藤 義雄², 奥津 光晴³, 味八木 茂⁴, 浅原 弘嗣⁴, Zhen Yan³, Stefano Schiaffino⁵, 牛田 多加志¹,
○秋本 崇之¹

(¹東京大学大学院 医学系研究科, ²産業技術総合研究所, ³University of Virginia, ⁴国立成育医療研究センター, ⁵University of Padova)

3. 骨格筋の再成長と再生におけるストレス応答の関与 【招待発表者】

○後藤 勝正

(豊橋創造大学大学院 健康科学研究科)

* * * * * 休 憩 11:30～11:40 * * * * *

Session II エクソン・スキッピング 11:40～12:40 座 長 松尾 雅文

4. C9orf72-Rab mediates defective vesicle trafficking in C9ALS/FTD and rescue by antisense intervention

武田 伸一¹, ○青木 吉嗣^{1,2}, Raquel Manzano², 福田 光則³, Kevin Talbot⁴, Matthew JA Wood²

(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 Physiology, Anatomy and Genetics, University of Oxford, ³東北大学大学院 生命科学研究科, ⁴The Nuffield Department of Clinical Neurosciences, University of Oxford)

5. 化学修飾人工核酸を用いる新しい筋ジストロフィー治療薬の開発

ーMCE 修飾オリゴヌクレオチドを用いた DMD 治療薬の開発ー

○清尾 康志, 正木 慶昭, 山本 恵士

(東京工業大学大学院 生命理工学研究科)

6. DMD 遺伝子における稀少スプライシング産物の解析と治療法へのアプローチ

ーDMD 遺伝子の稀少スプライシング産物に関する生成過程の検証ー

○鈴木 仁¹, 亀山 俊樹², 齊藤 崇³, 増田 智³, 永田 哲也^{3,4}, 青木 吉嗣³, 前田 明², 武田 伸一³, 塚原 俊文¹

(¹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, ²藤田保健衛生大学 総合医科学研究所 遺伝子発現機構学研究部門, ³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, ⁴東京医科歯科大学大学院 医歯学総合研究科)

7. 高性能スプライシング解析系の確立と新しい DMD 治療法の確立

ー神経性 SH-SY5Y 細胞におけるジストロフィン mRNA のイントロンリテンションー

○松尾 雅文¹, 西田 篤史², 栗野 宏之³

(¹神戸学院大学 総合リハビリテーション学部, ²日本ケミカルリサーチ株式会社, ³神戸大学大学院 医学研究所)

昼 食

12:40~13:50

Session III エクソン・スキッピングの臨床応用

13:50~14:35

座 長 横田 俊文

8. *In Silico/In Vitro* システムを用いた DMD に対するアンチセンス配列スクリーニングツールの開発

【招待発表者】

○横田 俊文¹, 越後谷 裕介¹, Bo Bao¹, Vincent Mouly², William Duddy², 青木 吉嗣³, 武田 伸一³

(¹Department of Medical Genetics, Faculty of Medicine and Dentistry, University of Alberta, ²Institut de Myologie, University of Paris 6, ³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. Duchenne 型筋ジストロフィーに対するエクソン 53 スキップ薬の早期探索的臨床試験

武田 伸一¹, ○齊藤 崇¹, 永田 哲也¹, 増田 智¹, 鈴木 麻衣子², 中村 治雅², 小牧 宏文³

(国立精神・神経医療研究センター ¹神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ²トランスレーショナル・メディカルセンター ³病院 小児神経診療部)

10. 遺伝子医療とピアカウンセラーの役割

ーピアカウンセラー養成講座の報告ー

貝谷 久宣¹, 矢澤 健司¹, 大澤 真木子^{1,2}, 白木 洋¹, 村上 仁江¹, 大當 孝志¹, 貝谷 嘉洋³, ○野口 恭子⁴, 小松 智賀⁴, 高井 絵里⁴, 松元 智美⁵, 川崎 奈緒子⁶, 蒲原 沙織⁷

(¹一般社団法人日本筋ジストロフィー協会, ²東京女子医科大学, ³NPO 法人日本バリアフリー協会, ⁴医療法人和楽会 心療内科・神経科赤坂クリニック, ⁵早稲田大学 人間科学研究科, ⁶早稲田大学大学院 人間科学研究科, ⁷東京家政大学大学院 人間生活学総合研究科)

休憩

14:35~14:45

Session IV microRNA・筋生物学

14:45~15:35

座長 田中 廣壽

11. 血清 microRNA およびエクソソームマーカータンパクによる筋ジストロフィー新規診断法の確立と治療への応用

ーエクソソーム表面抗原を標的とした DMD に対するバイオマーカーの検討およびエクソソーム分泌抑制を用いた筋特異的 miRNA の DMD 病態における機能解析ー

橋戸 和夫, ○松坂 恭成

(国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 RI 管理室)

12. 無重力や宇宙放射線の筋細胞における転写への影響

ー次世代シーケンサーによる解析ー

【招待発表者】

山田 明徳¹, 平坂 勝也¹, 田嶋 敦², 井本 逸勢³, 鈴木 穰⁴, 池川 志郎⁵, 永松 愛子⁶, 東端 晃⁶, ○二川 健⁷

(¹長崎大学大学院 水産・環境科学総合研究科, ²金沢大学 革新予防医科学教育研究センター, ³徳島大学大学院 医歯薬学研究部 人類遺伝学, ⁴東京大学大学院 新領域創成科学研究科, ⁵理化学研究所 ゲノム医科学研究センター, ⁶宇宙航空研究開発機構, ⁷徳島大学大学院 医歯薬学研究部 生体栄養学)

13. 骨格筋量制御の分子機構解明

ー筋力とタンパク質代謝の関係の解析ー

田中 廣壽^{1,2}, ○清水 宣明², 伊藤 尚基², 吉川 賢忠²

(¹東京大学 医科学研究所 附属病院 抗体・ワクチンセンター 免疫病治療学分野, ²東京大学 医科学研究所 附属病院 アレルギー免疫科)

コーヒープレイク

15:35~15:55

14. Low intensity training of *mdx* mice impacts on inflammatory statute武田 伸一¹, OJanek Hyzewicz¹, 倉岡 睦季¹, 谷端 淳¹, 笠原 優子^{1,2}

(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 日本医科大学 生化学・分子生物学(分子遺伝学)分野)

15. 筋強直性ジストロフィーにおける筋細胞骨格蛋白のスプライシング異常と病態

【招待発表者】

○中森 雅之, 高橋 正紀, 望月 秀樹

(大阪大学大学院 医学系研究科 神経内科学)

16. 遺伝性筋疾患の分子病態の解明ならびに治療法の開発

ーVI 型コラーゲン欠損ミオパチーの病態に関わる2つのイベントー

○野口 悟, 小川 恵, 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)

17. 進行性骨化性線維異形成症(FOP)における筋損傷後の骨化の誘発

【招待発表者】

○倉谷 麻衣, 町谷 亜位子, 藤本 舞, 大澤 賢次, 塚本 翔, 大手 聡, 片桐 岳信

(埼玉医科大学 ゲノム医学研究センター 病態生理部門)

18. 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, 小倉 智幸, 水澤 卓馬, 何 裕遥, 川井 健司, 高橋 利一

(公益財団法人実験動物中央研究所)

19. マウス Blastocyst Complementation (胚盤胞補完)法を用いた iPS 細胞由来の骨格筋組織構築

○朝倉 淳, 伊藤 日加瑠

【招待発表者】

(ミネソタ大学 医学部 幹細胞研究所 筋ジストロフィーセンター)

第2日目 平成27年12月9日(水)

Session VII 薬物治療

9:00～10:00

座長 岩田 裕子

20. ストレッチ感受性チャネルを標的とした筋ジストロフィー治療法の開発 ーTRPV2を治療標的とした心筋症治療薬の開発ー

○岩田 裕子, 平山 円

(国立循環器病研究センター 分子生理部)

21. 筋ジストロフィーの進行性軽減療法の開発

ー造血器型プロスタグランジンD合成酵素をターゲットとした筋ジストロフィーの2次炎症軽減療法の開発ー

裏出 良博¹, ○有竹 浩介¹, 永田 奈々恵¹, 田中 克尚², 竹内 敦子³

(¹筑波大学国際統合睡眠医科学研究機構 分子睡眠生物学, ²大鵬薬品工業株式会社, ³神戸薬科大学 薬学部)

22. Duchenne 型筋ジストロフィーに対するカルパイン1阻害剤治療法の開発

松尾 雅文¹, 鍋島 陽一², ○福島 昭二³, 岸本 修一³, 栗野 宏之⁴, 伊東 恭子⁵

(¹神戸学院大学 総合リハビリテーション学部, ²公益財団法人先端医療振興財団先端医療センター, ³神戸学院大学 薬学部, ⁴神戸大学大学院 医学研究科, ⁵京都府立医科大学大学院 医学研究科)

23. 液性因子による変性骨格筋の再生療法の開発

ーヒト筋芽細胞におけるG-CSFの作用の検討ー

福田 恵一, ○林地 のぞみ, 湯浅 慎介

(慶應義塾大学 医学部 循環器内科)

休憩

10:00～10:10

Session VIII 遺伝子治療

10:10～10:55

座長 萩原 正敏

24. AAVベクターを用いた遺伝子治療の進捗状況

ー世界的な趨勢と本学におけるプロジェクトについてー

○水上 浩明, ト部 匡司

(自治医科大学 分子病態治療研究センター)

【招待発表者】

25. AAV ベクターを用いた筋ジストロフィー犬に対する遺伝子治療と免疫寛容誘導 【招待発表者】

○喜納 裕美^{1,2}, 笠原 優子^{1,2}, 岡田 浩典^{1,2}, 弓削田 直子², 今川 究³, 立花 克彦³, 武田 伸一², 岡田 尚巳¹
(¹日本医科大学 生化学・分子生物学(分子遺伝学), 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, ³JCR ファーマ株式会社)

**26. 変異ジストロフィン遺伝子エキソンスキップ誘導化合物の作用機序の解明
ーマウス筋肉組織におけるエキソンスキッピング誘導低分子の開発研究ー**

○萩原 正敏
(京都大学大学院 医学研究科)

***** コーヒーブレイク 10:55~11:15 *****

Session IX 幹細胞と再生医療 11:15~12:05 座長 梅澤 明弘

27. Teneurin-4 による軟骨・骨格筋組織の未分化性維持機構について 【招待発表者】

○鈴木 喜晴¹, 伊藤 尚基², 深田 宗一郎³, 武田 伸一², 関矢 一郎⁴, 赤澤 智宏¹
(¹東京医科歯科大学大学院 保健衛生学研究科, 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大阪大学大学院 薬学研究科 細胞生理学分野, ⁴東京医科歯科大学 再生医療研究センター)

28. 骨格筋内在性間葉系前駆細胞を標的として骨格筋を維持・増強させる手法の開発 【招待発表者】

○上住 聡芳¹, 上住 円², 深田 宗一郎³, 山本 直樹⁴, 山田 治基⁵, 西野 一三⁶, 武田 伸一⁷, 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国立長寿医療研究センター 再生再生医学研究部, ³大阪大学大学院 薬学研究科 細胞生理学分野, ⁴藤田保健衛生大学 共同利用研究施設, ⁵藤田保健衛生大学 整形外科, ⁶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, ⁷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. 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大動物の疾患モデル作製と SOP 構築のための基盤研究

ーヒト胚性幹細胞(ES 細胞)を原材料とする再生医療製品開発ー
○梅澤 明弘, 阿久津 英憲, 豊田 雅士
(国立成育医療研究センター)

***** 班員会議 教育研修棟ユニバーサルホール 多目的室 12:05~13:20 *****

30. 骨格筋再生メカニズムに基づいた移植細胞創成技術の開発**ー古典的 Notch シグナルの二つの働きー**

○深田 宗一郎¹, 大谷 拓史¹, 中村 美紀¹, 張 礪丹¹, 上住 聡芳², 鈴木 友子³, 武田 伸一³

(¹大阪大学大学院 薬学研究科 細胞生理学分野, ²藤田保健衛生大学 総合医科学研究所 難病治療学

³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)

31. 成熟骨格筋における Notch シグナルの機能解析**【招待発表者】**

増田 慎也, 瀬古 大暉, 小川 静香, 藤田 諒, 吉岡 潔志, 久松 翼, ○小野 悠介

(長崎大学大学院 医歯薬学総合研究科 原爆後障害医療研究所 幹細胞生物学研究分野)

32. 筋ジストロフィー治療法開発に資する筋ジストロフィー由来ヒト筋細胞解析系の確立**ーヒトおよびマウス筋前駆細胞の酸化ストレス応答の:モデルマウスの結果をヒトに外挿するための細胞レベルの研究基盤 2ー**

○橋本 有弘, 大久保 咲

(国立長寿医療研究センター 研究所 再生再建医学研究部)

33. 膜型メタロプロテアーゼ ADAM10 は衛星細胞の未分化能維持に必須である**【招待発表者】**

水野 早希子, 依田 昌樹, 中村 雅也, ○堀内 圭輔

(慶應義塾大学 医学部 整形外科科学教室)

34. CXCL12 が筋衛星細胞に及ぼす影響**【招待発表者】**

前田 寧¹, ○中城 雄輝²

(¹国立病院機構熊本再春荘病院 臨床研究部, ²熊本大学医学部 附属病院 神経内科)

35. Pro-IGF-II の補充による老化骨格筋再生能力の改善**【招待発表者】**

○上住 円¹, 上住 聡芳², 土田 邦博², 深田 宗一郎³, 橋本 有弘¹

(¹国立長寿医療研究センター 再生再建医学研究部, ²藤田保健衛生大学 総合医科学研究所 難病治療学

³大阪大学大学院 薬学研究科 細胞生理学分野)

* * * * *

休 憩

14:55～15:05

* * * * *

36. 患者由来 iPS 細胞を活用した筋ジストロフィーに対する新規治療薬開発**ー細胞移植治療法開発の現状ー**

○櫻井 英俊¹, 高山 了^{1,2}, 竹中 菜々¹, 趙 明明¹, 池谷 真¹, 堀田 秋津¹, 佐藤 貴彦³, 伊東 佑太⁴

(¹ 京都大学 iPS 細胞研究所, ² 旭化成株式会社, ³ 京都府立医科大学 視機能再生外科学講座, ⁴ 名古屋学院大学 リハビリテーション学部 理学療法学科)

37. 多能性幹細胞を用いた筋ジストロフィーに対する新規治療開発**ー多能性幹細胞を用いた筋ジストロフィーの心不全発症機序の解明と治療法の開発ー**

平家 俊男¹, ○平田 拓也¹, 馬場 志郎¹, 栗屋 智就¹, 鶴見 文俊²

(¹ 京都大学大学院 医学研究科 発達小児科学, ² 三菱京都病院 小児科)

38. 筋ジストロフィー病態における筋再生マーカー開発に向けた血清オステオポンチンの解析

武田 伸一¹, ○倉岡 睦季¹, 木村 円¹, 永田 哲也^{1,2}, 岡田 尚巳^{1,3}, 青木 吉嗣¹, 立森 久照⁴, 米本 直裕⁵
今村 道博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 東京医科歯科大学大学院 医歯学総合研究科, ³ 日本医科大学 生化学・分子生物学(分子遺伝学)分野, ⁴ 国立精神・神経医療研究センター 精神保健研究所 精神保健計画研究部, ⁵ 国立精神・神経医療研究センター 精神保健研究所 精神薬理研究部)

M E M O

国立研究開発法人

国立精神・神経医療研究センター (NCNP)

< 詳細地図 >



国立研究開発法人

国立精神・神経医療研究センター (NCNP)

<センター内地図>



駐車場料金

料金区分		30分まで	30分以降
一般の方	昼間 (7:00~18:30)	無料	200円/1時間 (2時間迄は100円)
	夜間 (18:30~7:00)	無料	300円/1時間
受診患者の方 *但し、30分以降となった場合は ⑤会計受付窓口に表示して下さい		無料	100円/当日の退場まで

(地図上マークの説明)

- 屋根付き通路
- 外来者専用駐車場
- 専用駐車場
- 職員駐車場
- 駐車料金精算機
- 駐輪場
- タクシー乗場
- 🚑 AED設置場所
- 📠 ポスト
- ☎ 公衆電話
- 🍽 レストラン
- 🏪 コンビニエンスストア
- 🏧 ATM
- ☕ タリーズコーヒー

国立精神・神経医療研究センター(NCNP)

The map illustrates the extensive rail network of Tokyo, centered around the JR Yamanote Line (black dashed line). Key stations include Shinjuku, Nishi-Shinjuku, Maebashi, Utsunomiya, Nishi-Utsunomiya, and Yamanote Line stations. The map also shows connections to other major lines like the Keisei Line (red), Keikyu Line (red), and the Toei Line (blue). The map includes labels for various highways (e.g., 首都高速, 京葉道路, 東名高速道路) and airports (e.g., 成田空港, 羽田空港). The map is color-coded by line type: black for JR lines, red for private lines, blue for Toei lines, and green for highways. The map also shows the location of the National Institute of Advanced Industrial Science and Technology (AIST) and the National Institute of Advanced Industrial Science and Technology (AIST) in Tsukuba.

*タクシー利用時の時間・料金はおよその目安です。交通事情により変動いたしますのでご了承ください*情報は平成27年4月現在