

徳島新聞生命科学分野研究支援
活報書

公益財団法人徳島新聞社会文化事業団
代表理事 米田 豊彦 殿

所属 徳島大学大学院薬科学教育部博士課程3年

氏名 月本 準



【研究活動成果】

遺伝的にリソソーム酵素の一種であるNEU1欠損症(ノイラミニダーゼ1(NEU1)が欠損する場合、及びNEU1の活性化因子CTSAが欠損する場合の2種類の発症機構がある)の治療薬を作る研究をしております。欠損している酵素は凝集性が高く、細胞に発現させすぎると毒性を示します。現在、毒性を示しにくくなるような改変型酵素の作製に成功しており、培養モデル細胞に対して当該遺伝子を非病原性ウイルス(既に遺伝子治療用医薬品として応用されている、アデノ随伴ウイルスベクター)に組み込んで投与、酵素活性を回復させることに成功している所です。支援金は、今後モデル動物治療実験に必要な多量のアデノ随伴ウイルスベクター(AAV)の作製に必要となります、実験器具の購入に充てさせていただきます。今年度の主な成果として、次の3つを挙げさせていただきます。

1. AAVベクターへの改変型酵素遺伝子、及びCTS遺伝子の搭載に成功し、当該AAVベクターを精製することができた。
2. 改変型酵素遺伝子を搭載したAAVベクターを、Ctsa欠損モデル動物に投与し、欠損酵素の活性回復が見られた。
3. AAV投与Ctsa欠損モデル動物における、炎症マーカーの減少が確認できた。

上記成果は、新規治療薬開発の為に必須の成果であります。今後はジアラリドーシスモデル動物への薬剤投与も行い、両疾患に有効かどうか確認する予定です。現在は治療法のない疾患の特効薬を開発するべく、今後も更に研究を進めて参ります所存です。貴財団のご支援により、今年度は研究を大きく進めることができました。心より感謝申し上げます。

【支援金支出明細】

PipetPAL 8ch ムルチチャンネルピペット 20-200 μ l 2本 100,000円
PipetPAL 8ch ムルチチャンネルピペット 1-10 μ l 2本 100,000円