



薬学部 薬学科 准教授

藤井 績 FUJII Isao

薬学部 薬学科 助教

堀尾 福子 HORIO Fukuko

筋ジストロフィー治療へのアプローチ

～MyoD導入ヒト皮膚線維芽細胞を利用した遺伝性筋疾患の再生治療～

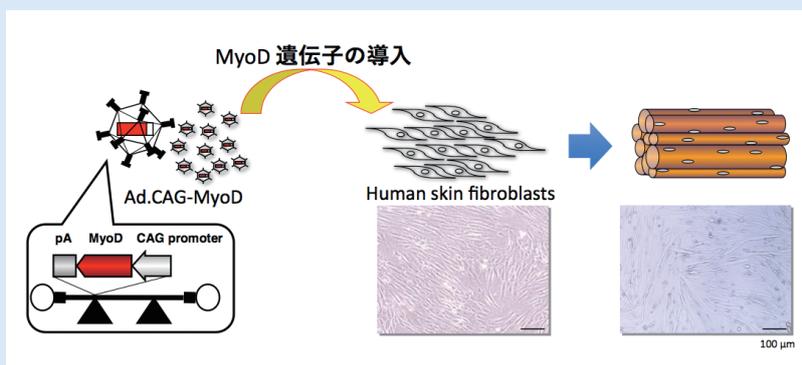
キーワード 🔍

筋ジストロフィー、再生治療、MyoD、アデノウイルスベクター、ダイレクト・リプログラミング

研究シーズ概要 📄

筋ジストロフィーは筋の変性・壊死を主病変とし、進行性の筋萎縮・筋力低下を生じる疾患です。中でも最も多いデュシェンヌ型筋ジストロフィーは筋力低下の進行に伴い、最終的には死に至る重症疾患です。現在、根本的治療法は存在しません。これまでに正常な筋を移植する方法が考えられてきましたが、この方法は全身麻酔下の健常者から筋を採取し、患者さんへ移植する方法のため、ドナーとなる健常者にとっては大きな負担となります。また、実際に筋としての機能を回復させるためには多くの細胞を必要とします。

本研究では、採取が容易で、大量に増殖させることのできる皮膚線維芽細胞にアデノウイルスベクターを利用しており、MyoD と呼ばれる筋分化を調節する遺伝子を導入することで筋へと分化誘導し、その細胞を移植細胞として利用できないかを検討しています。



利点・特長・成果 📄

本研究では皮膚線維芽細胞を筋芽細胞へ形質転換させ、その細胞をデュシェンヌ型筋ジストロフィーの患者さんへの移植細胞の候補として検討しています。現在、世界中で広く研究されているのがiPS細胞等の多能性幹細胞を利用する方法です。これらの方法は、一旦未分化細胞を作成し(ステップ1)、それらの細胞を分化誘導させる(ステップ2)方法で、2段階のステップを踏む間接的・リプログラミング法です。これに対して現在、私たちが研究している方法は、分化細胞から直接目的の細胞を得ることができる直接的・リプログラミング法と呼ばれています。この方法は直接分化誘導できるため、より簡便で、短期間に低コストで分化誘導する利点があります。これまでにMyoD導入皮膚線維芽細胞では筋特異的遺伝子が発現し、複数の筋としての特性(遊走能、融合能、収縮能)を獲得したことを確認しています。今後、さらに検討を進めることで、将来、遺伝性筋疾患の細胞治療戦略として応用が期待されます。