

精神・神経疾患研究開発費

臨床試験の開始を目的とした 筋ジストロフィーに対する新たな治療法の開発

平成25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 25 年 12 月 9 日 (月) 9:50～18:00
平成 25 年 12 月 10 日 (火) 9:00～15:55

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)
- ◆ 10 日 11 時 30 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25年12月9日(月)

開会の挨拶 9:50~10:00 主任研究者 武田 伸一

Session I 病態・診断 10:00~11:00 座長 関口 正幸

1. Dystrophinopathy の中枢障害に関する基礎研究

—DMD 遺伝子における変異の位置とマウス行動フェノタイプ—

関口 正幸, ○小田桐 沙織, 山田 大輔, 和田 圭司

(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. 骨髄間質細胞を応用した DMD に対する細胞移植治療の基盤研究

武田 伸一¹, ○笠原 優子¹, 喜納 裕美¹, 倉岡 睦季¹, 千代 智子¹, 岡田 浩典¹, 今川 究², 藺田 啓之², 立花 克彦², 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日本ケミカルリサーチ株式会社)

3. 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

【招待発表者】

—AAV に対する中和抗体の状況とその作用の回避に向けた取組み—

小澤 敬也, 卜部 匡司, ○水上 浩明

(自治医科大学 分子病態治療研究センター 遺伝子治療研究部)

4. 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

○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)

***** 休憩 11:00~11:10 *****

Session II Special Session I 11:10~12:00 座長 武田 伸一

5. 新しい筋炎モデルマウスからみた病態と治療の新しい理解

【招待講演者】

○上阪 等

(東京医科歯科大学大学院 歯学総合研究科)

***** 休憩 12:00~13:15 *****

Session III Special Session II

13:15~14:05

座長 武田 伸一

6. Targeting MG53-mediated cell membrane repair in regenerative medicine 【招待講演者】

○Jianjie Ma¹, Hiroshi Takeshima²

(¹Davis Heart & Lung Research Institute, The Ohio State University, ²Graduate School of Pharmaceutical Sciences, Kyoto University)

休憩

14:05~14:15

Session IV 幹細胞と筋再生

14:15~15:15

座長 橋本 有弘

7. 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
—Notch と NF kappaB のクロストークを介したヒト DMD 筋細胞の増殖・分化の制御—

永田 有希, ○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)

8. 筋芽細胞の休止期を維持するメカニズムの解明 【招待発表者】

○木村 重美¹, 吉岡 毅¹, 中野 志保²

(¹熊本大学大学院 生命科学研究部 小児発達学, ²崇城大学 薬学部)

9. 骨格筋幹細胞形成維持に関する転写後調節機構 【招待発表者】

○佐藤 貴彦, 瀬原 淳子

(京都大学 再生医科学研究所 再生増殖制御学分野)

10. 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

—Non-Classical myoblasts の同定—

○深田 宗一郎¹, Ma Yuran¹, 渡邊 陽子¹, 大谷 拓史¹, 村上 聡¹, 上住 聡芳², 山元 弘³, 鈴木 友子⁴,
武田 伸一⁴

(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神戸学院大学 薬学部, 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)

コーヒーブレイク

15:15~15:35

11. 間葉系前駆細胞の表現型の制御機構

【招待発表者】

○上住 聡芳¹, 深田 宗一郎², 上住 円³, 山本 直樹⁴, 武田 伸一⁵, 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国立長寿医療センター 再生再建医学研究部, ⁴藤田保健衛生大学 共同利用研究施設, 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)

12. 自己骨髄間葉系幹細胞による筋再生促進を用いた筋ジストロフィー及び骨格筋難病治療

【招待発表者】

○前田 寧¹, 米持 康寛², 日高 秀昭², 安東 由喜雄²

(¹熊本大学 医学部附属病院 分子神経治療学講座, ²熊本大学 医学部附属病院 神経内科)

13. 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

庄子 栄美^{1,2}, 瀬原 淳子², 粟屋 智就³, 平家 俊男³, 中畑 龍俊¹, ○櫻井 英俊¹

(¹京都大学 iPS 細胞研究所 臨床応用研究部門, ²京都大学再生医科学研究所 再生増殖制御学分野, ³京都大学大学院医学研究科 発達小児科学講座)

14. 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

○粟屋 智就, 馬場 志郎, 平田 拓也, 鶴見 文俊, 加藤 竹雄, 平家 俊男

(京都大学大学院 医学研究科 発達小児科学)

休憩

16:35~16:45

15. 骨格筋量制御の分子機構解明

○田中 廣壽, 清水 宣明, 丸山 崇子, 松宮 遼, 馬艶霞

(東京大学 医科学研究所 附属病院 アレルギー免疫科)

16. Ca²⁺シグナルによって誘起される mTOR の活性化が筋肥大を促進する

武田 伸一¹, ○伊藤 尚基¹, Urs Ruegg², 鈴木 友子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, ²Laboratory of Pharmacology, Geneva-Lausanne School of Pharmaceutical Sciences, University of Geneva, Geneva, Switzerland)

17. Unloading-mediated signal transduction in skeletal muscle **【研究協力者】**

○二川 健¹, 安倍 知己¹, 内田 貴之¹, 下田 いちか¹, 越智 ありさ¹, 中尾 玲子², 真板 綾子¹, 平坂 勝也³, 近藤 茂忠¹, 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, ²産業技術総合研究所 バイオメディカル研究部門 生物時計研究グループ, ³長崎大学大学院水産・環境総合科学研究科 食品栄養学研究室, 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)

18. 廃用性筋萎縮を防ぐペプチド Cblin (Cbl-b inhibitor)の開発 **【研究協力者】**

○越智 ありさ¹, 北畑 香菜子¹, 安倍 知己¹, 中尾 玲子², 真板 綾子¹, 近藤 茂忠¹, 赤間 一仁³, 平坂 勝也⁴, 二川 健¹

(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, ²産業技術総合研究所 バイオメディカル研究部門 生物時計研究グループ, ³島根大学 生物資源科学部 生物資源科, ⁴長崎大学大学院水産・環境総合科学研究科 食品栄養学研究室)

19. 老化による筋萎縮のメカニズム:MuRF1 ノックアウトマウスを用いた解析を中心に **【研究協力者】**

○平坂 勝也^{1,2}, 前田 翼², 坂下 禎宏², 春名 真理江², 真板 綾子², 近藤 茂忠², 谷山 茂人¹, 橘 勝康¹, 武田 伸一³, 二川 健²

(¹長崎大学大学院水産・環境総合科学研究科 食品栄養学研究室, ²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, 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)

懇親会

18:15~20:15

第2日目 平成25年12月10日(火)

Session VII エクソン・スキッピング

9:00~10:00

座長 松尾 雅文

20. 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

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

21. 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

—塩基部位と糖部位を同時に化学修飾した 2'-O-MCE RNA を用いる筋ジストロフィー治療薬の
開発—

○関根 光雄¹, 正木 慶昭¹, 石井 陽大¹, 山本 恵士¹, 宮坂 隆太¹, 岡庭 夏己¹, 山田 剛史¹, 大窪 章
寛¹, 清尾 康志¹, 谷端 淳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)

22. ジストロフィン遺伝子のスプライシング異常に対する温熱と低分子化合物の併用療法の探索

○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)

23. 高性能スプライシング産物解析系の確立と新しい DMD 治療法の確立

—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—

○松尾 雅文¹, 西田 篤史¹, Louis Kunkel², 萩原 正敏³

(¹神戸学院大学 総合リハビリテーション学部, ²ボストン小児病院, ³京都大学大学院 医学研究科 形態形
成機構学分野)

コーヒーブレイク

10:00~10:30

Session VIII エクソン・スキッピングの臨床応用に向けて

10:30~11:30

座長

武田 伸一

24. モルフォリノ核酸が筋形質膜から取り込まれる機序の解明

【招待発表者】

—難治性筋・神経疾患に対する画期的核酸医薬品の開発を目指して—

武田 伸一¹, ○青木 吉嗣², 横田 俊文³, 中村 昭則⁴, Terence Partridge⁵, 永田 哲也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, ²Department of Physiology,
Anatomy and Genetics, University of Oxford, ³Department of Medical Genetics, University of Alberta, ⁴信
州大学 医学部 第三内科, ⁵Research Center for Genetic Medicine, Children's National Medical Center)

25. ヒト DMD 遺伝子に対するエクソン 45-55 スキッピング

【招待発表者】

○横田 俊文¹, 越後谷 裕介¹, Joshua Lee¹, Joshua Kim¹, 永田 哲也², 齊藤 崇², 谷端 淳², 増田 智², 青木 吉嗣³, William Duddy⁴, Vincent Mouly⁴, 武田 伸一²

(¹Department of Medical Genetics, University of Alberta, 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, ³Department of Physiology, Anatomy and Genetics, University of Oxford, ⁴ Institut de Myologie, Paris, France)

26. Duchenne 型筋ジストロフィーに対するエクソン 53 スキップによる早期探索的臨床試験

武田 伸一^{1,2}, ○永田 哲也¹, 齊藤 崇¹, 谷端 淳¹, 増田 智¹, 福田 昂一², 清水 玲子², 小牧 宏文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, ³国立精神・神経医療研究センター 病院 小児神経科)

27. 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, 井原 千琴¹, ○野口 恭子², 小松 智賀²

(¹社団法人日本筋ジストロフィー協会, ²医療法人和楽会 心療内科・神経科 赤坂クリニック,)

******* 班員会議 JA 共済ビル カンファレンス・ホール 11:30~13:00 *******

Session IX モデル動物・バイオマーカー

13:00~13:45

座長

武田 伸一

28. 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, 上迫 努, 何 裕遥, 高橋 利一, 日置 恭司

(公益財団法人実験動物中央研究所)

29. 血清 microRNA を用いた筋ジストロフィーに対する新規バイオマーカーの確立 【研究協力者】

○松坂 恭成¹, 岸 宗一郎¹, 小牧 宏文², 大矢 寧³, 青木 吉嗣⁴, 武田 伸一⁴, 橋戸 和夫¹

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 RI 管理室, ²国立精神・神経医療研究センター 病院 小児神経科, ³国立精神・神経医療研究センター 病院 神経内科, 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. デュシェンヌ型筋ジストロフィー・イヌモデル CXMD₁を用いた血清オステオポンチンの解析

武田 伸一^{1,2}, ○倉岡 睦季¹, 木村 円^{1,2}, 永田 哲也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)

コーヒーブレイク

13:45~14:15

31. 液性因子による変性骨格筋の再生療法の開発

—筋衛星細胞に対する G-CSF の作用機序の解明—

福田 恵一¹, 〇林地 のぞみ², 湯浅 慎介¹, 伊藤 尚基³, 鈴木 友子³, 武田 伸一³

(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)

32. 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

—癌悪液質筋委縮病態にストレッチ感受性チャネルが関与するかどうかの検討—

〇岩田 裕子¹, 鈴木 伸之², 若林 繁夫¹

(¹国立循環器病研究センター研究所 分子生理部, ²協和発酵キリン株式会社)

33. 筋ジストロフィー病態の進行軽減療法の開発

〇裏出 良博¹, 有竹 浩介²

(¹公益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, ²筑波大学 国際統合睡眠医科学研究機構)

休憩

15:00~15:10

34. 遺伝性筋疾患の分子病態の解明ならびに治療法の開発

—VI 型コラーゲン欠損症のモデルマウスの病態解析—

〇野口 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)

35. 遺伝性筋疾患の分子病態の解明ならびに治療法の開発

—縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーの高齢罹患モデルマウスに対する治療研究—

〇野口 悟, 米川 貴博, 小川 恵, May Christine Malicdan, Anna Cho, 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)

36. 重症筋無力症の疾患モデルマウスを使った発症メカニズムに基づく治療法の開発【招待発表者】

〇重本 和宏, 山田 茂, 森 秀一

(¹東京都健康長寿医療センター研究所 老年病研究チーム 運動器医学)

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、「麴町駅」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

