

難病患者・iPSを修復

ゲノム編集 正常な神経細胞に

遺伝性パーキンソン病の患者から作製したiPS細胞(人工多能性幹細胞)を、遺伝子を効率よく改変できる「ゲノム編集技術」を使って修復し、正常な神経細胞に変えることができたとの研究成果を、慶応大と北里大などのグループがまとめた。パーキンソン病の原因解明や、新たな治療法開発につながることを期待される。

遺伝性パーキンソン病

慶大・北里大グループ

パーキンソン病は、脳の神経細胞と神経伝達物質が減り、体を動かしにくくなる病気で、根本的な治療法はない。高齢者の発症例が多く、患者数は約16万人。このうち1割が遺伝性と見られている。

「パーキンソン病は、脳の神経細胞と神経伝達物質が減り、体を動かしにくくなる病気で、根本的な治療法はない。高齢者の発症例が多く、患者数は約16万人。このうち1割が遺伝性と見られている。」

慶応大の岡野栄之教授(生理学)と北里大の太田悦朗講師(免疫学)らのグループは、遺伝性パーキンソン病患者の神経細胞では、たんぱく質の動きの制御に関わる遺伝子に異常があることに着目した。

「このうち1割が遺伝性と見られている。」

患者の皮膚からiPS細胞を作製し、そのまま神経細胞に変えると、情報をや

りとりする「軸索」や「樹状突起」と呼ばれる部分が通常より短いことが確認できた。そこで、ゲノム編集技術を使ってiPS細胞の遺伝子異常を修復し、神経細胞に変えると、軸索や樹状突起の長さが正常になった。

◆遺伝性パーキンソン病患者の神経細胞を修復する仕組み

樹状突起

軸索

正常な神経細胞に

遺伝子異常を修復したiPS細胞

ゲノム編集で遺伝子異常を修復

皮膚から作製したiPS細胞

患者



患者の皮膚からiPS細胞を作製し、そのまま神経細胞に変えると、情報をや

りとりする「軸索」や「樹状突起」と呼ばれる部分が通常より短いことが確認できた。そこで、ゲノム編集技術を使ってiPS細胞の遺伝子異常を修復し、神経細胞に変えると、軸索や樹状突起の長さが正常になった。

村松慎一・自治医科大学特

命教授(神経内科)の話「す

ぐに治療につながるのには難

しいだろうが、異常のある

細胞と正常な細胞を比較し

て、創薬につながる研究な

どが期待できる」