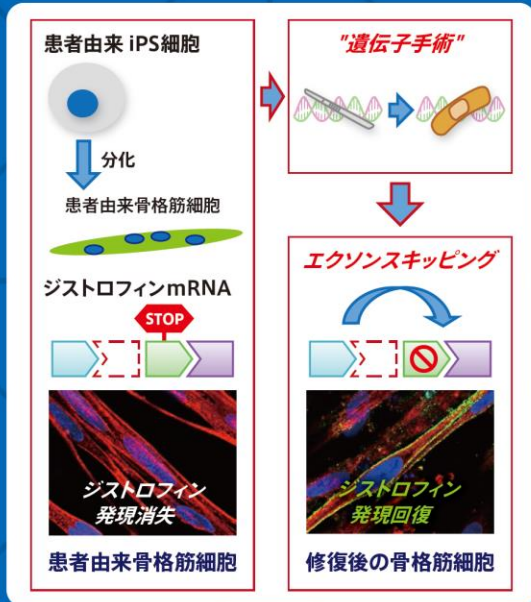


## <コンセプト/研究戦略>



## <In Vivo Genome Editing project : 先天性筋疾患に対する

## ゲノム編集遺伝子治療法開発>

遺伝子変異が原因で発症する筋ジストロフィーをターゲットに、最先端のゲノム編集技術と送達技術を活用して遺伝子変異の修復を目指します。独自の技術を開発し、患者さん由来のiPS細胞で修復効率や安全性の確認を行いつつ、これまでになかった新しい遺伝子治療法の開発を行います。

堀田 秋津

Akitsu Hotta



## <コンセプト>

- ▶ 患者さん由来のiPS細胞から骨格筋細胞を分化誘導しても、遺伝子の異常によりジストロフィンタンパク質の発現が認められない。
- ▶ ゲノム編集技術により遺伝子変異エクソンをスキップさせることにより、機能のある程度保持したジストロフィンタンパク質の発現を誘導することができる。

## <進捗>

- ▶ ヒトのジストロフィン遺伝子を有する筋ジストロフィーモデルマウスを用いて、遺伝子編集技術によりジストロフィンタンパク質の発現が回復することを確認した。

## <進捗>

"ヒトジストロフィン遺伝子"を有する  
筋ジストロフィーモデルマウス

