



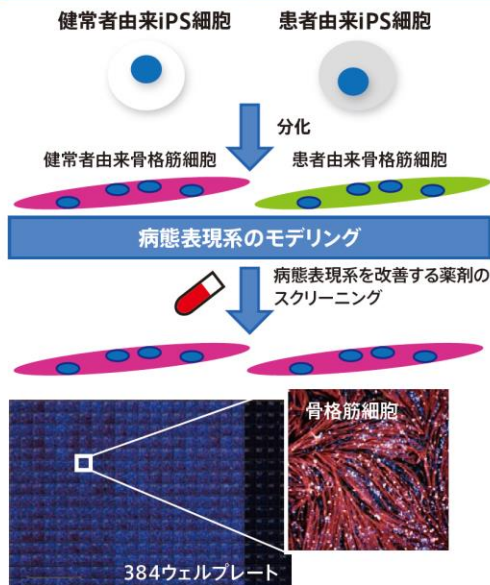
櫻井 英俊
Hidetoshi Sakurai



〈Muscular Dystrophy Project : iPS細胞を利用した難治性筋疾患に対する治療薬の研究〉

三好型ミオパチーやデュシェンヌ型筋ジストロフィーなどの難治性筋疾患に対する新規治療薬の創出および疾患モデルの研究を行います。疾患モデルの作製やドラッグスクリーニングに患者さん由来のiPS細胞を活用します。

<コンセプト/研究戦略>

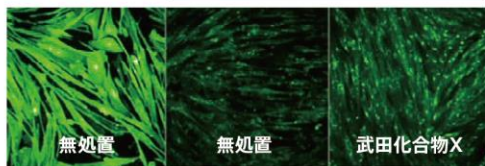


<進捗>

三好型ミオパチー：患者iPS細胞由来の筋管細胞を用いたハイコンテンツ・ハイスループット評価系を用いて、ジスフェルリタンパク質発現量を上昇させる“薬の種”となる化合物を見出しました。新たな治療薬の提供に向けて化合物の最適化合成研究が進行中です。

正常

患者iPS細胞由来



武田化合物Xの処置によりジスフェルリタンパク質の発現量が回復 (免疫細胞化学的解析による検出)

<コンセプト>

- ▶ 384-ウェルプレート上で、健康者および患者さん由来のiPS細胞から骨格筋細胞を分化誘導する。
- ▶ 患者さん由来の骨格筋細胞でのみ観察される病的な変化を可視化し、ハイスループットのドラッグスクリーニング評価系を構築する。
- ▶ 病的な変化を改善させる化合物を選出し、化合物の最適化に活用する。

<進捗>

- ▶ 三好型ミオパチー：武田化合物ライブラリーの中から“薬の種”となる化合物を見出した(左図)。
- ▶ デュシェンヌ型筋ジストロフィー：患者iPS細胞由来の骨格筋細胞において、Ca代謝の異常をもたらす治療ターゲットとなる因子を同定した。