

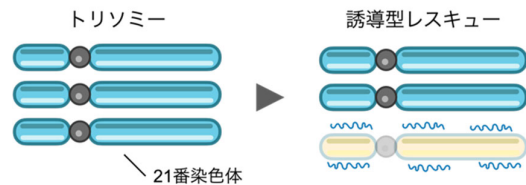
NEWS RELEASE

三重大学ゲノム操作・解析技術開発ユニットの研究課題「染色体単位の遺伝子量補償によるダウン症候群の創薬基盤構築」が令和8年度 AMED 事業に採択されました

- 大部分のダウン症候群のある方の細胞では、21 番染色体が数的に過剰です。
- このたび、三重大学ゲノム操作・解析技術開発ユニットの「ダウン症候群創薬基盤構築」に関する研究課題が、令和8年度 AMED(国立研究開発法人日本医療研究開発機構)「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム(疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態解明・創薬研究課題)」事業に採択されました。
- ゲノム編集技術等を用いて、ダウン症候群のある方の細胞中の過剰染色体全域の働きを制御する基盤技術の確立を目指す研究です。

【概要】

ダウン症候群(DS)は、21 番染色体が 1 本多いトリソミーによって生じます。DS のある方の平均寿命は 60 歳を超える一方、一部の認知機能に関する困難や、早発性のアルツハイマー病には有効な治療法がありません。このたび、三重大学重点リサーチセンター「ゲノム操作・解析技術開発ユニット(代表者:生物資源学研究所・竹林慎一郎教授)」の研究課題『染色体単位の遺伝子量補償によるダウン症候群の創薬基盤構築』(研究開発担当:医学系研究科・橋詰令太郎講師)が、令和8年度 AMED「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム(疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態解明・創薬研究課題)」に採択されました。DS のある方由来の iPS 細胞などを用いて、過剰な 21 番染色体全域の働きを染色体単位で制御する基盤技術の確立を目指す研究です。



【背景】

DSの症状は、21 番染色体上にある多数の遺伝子が過剰に働くこと(遺伝子量効果)によって生じます。そのため、特定の一つの遺伝子だけを標的とする従来の創薬では十分な効果を得ることが難しいとされています。一方で、これらの遺伝子はすべて過剰な染色体の上には存在することから、染色体全体を操作対象とする新しい発想が求められています。

【研究内容】

本研究では、DNA の配列を切らない安全性の高いゲノム操作技術を用いて、過剰な 21 番染色体全域の働きを抑え、遺伝子量のバランスを整える基盤技術を開発します。

【今後の展望】

DS では、過剰な染色体をもつ細胞の割合が一定以下になると、認知機能を含む一部の症状が軽減する可能性が示されています。本技術によって細胞の構成を整えることで、一部の認知機能に関する困難やアルツハイマー病といった主要な合併症を軽減できる可能性があります。これらにより、DS 当事者がご本人の望む形で、ご本人の能力をより発揮しつつ、より選択肢の多い生活を送る未来が開かれます。さらに本研

究は、DS に限らず、他の染色体の数的異常による疾患への応用も期待され、「染色体を対象とする介入」という新たな原理の確立を目指します。

【用語解説】

トリソミー：特定の染色体が 3 本となっている染色体の構成。

iPS 細胞：人工的に作られた多能性の幹細胞。

アルツハイマー病：一般集団において、認知症を引き起こす代表的な病気。記憶や思考能力が緩徐に障害される不可逆的な進行性の脳疾患。

<本件に関するお問合せ>

三重大学大学院医学系研究科 修復再生病理学

橋詰 令太郎

TEL: 059-231-5009 E-mail: hashizumer@med.mie-u.ac.jp