

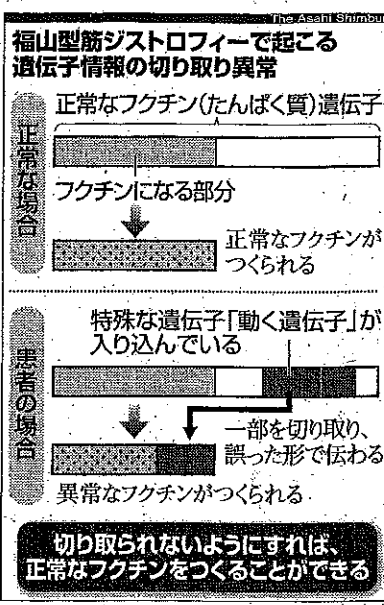
福山型筋ジス治療に道

神戸大 発症の仕組み解明

日本人にはほぼ特有の難病、福山型筋ジストロフィーが起る仕組みを、神戸大医学研究所の戸田達史教授らのグループが解明した。特定のたんぱく質をつくる遺伝子に別の特殊な遺伝子が割り込み、その一部も切り取った誤った情報が

読み取られるため、たんぱく質を正しくつくれなくなっていた。特殊な遺伝子を切り取られなくする薬を使えば治療できる。6日付の英科学誌「ネイチャー」に掲載される。

福山型筋ジスは先天性の病気、筋力が低下しては



「動く遺伝子」と呼ばれる特殊な遺伝子が約2千年前、フクチンというたんぱく質をつくる遺伝子に突然変異で入り込み、その遺伝子を受け継ぐ人の一部は正常なフクチンがつかれなくなっている。だが、その詳しい仕組みはよくわかっていなかった。

研究グループは、遺伝子の本来読み取られるべき部分の配列に、「動く遺伝

子」の一部が切り取られて加わった結果、正常なフクチンができなくなっていることを明らかにした。こうした「切り取り異常」は、家族性高コレステロール血症や脂質蓄積異常症などの病気でも起こっていること

も突き止めた。「動く遺伝子」にくっついて切り取られないようにするDNA化合物を、患者由来の細胞に注入したところ、フクチンをつくる能力が正常の6割ほどに回復した。

マウスの実験で、静脈注射で全身投与したところフクチンがつけられるようになり、治療効果が確認できたという。戸田教授は「数年後には臨床試験を目指したい」と話している。

(須藤大輔)