

稀少難病疾患の不整脈源性右室心筋症の治療戦略を確立

# 京都府立医科大学 人工臓器・心臓移植再生医学講座

心臓機能障害を伴う稀少難病疾患である不整脈源性右室心筋症 (ARVC)、ミトコンドリア病、ライソゾーム病に対して、Ex Vivo Gene Therapy の流れの中で治療戦略を確立することを目標に研究を行っています。

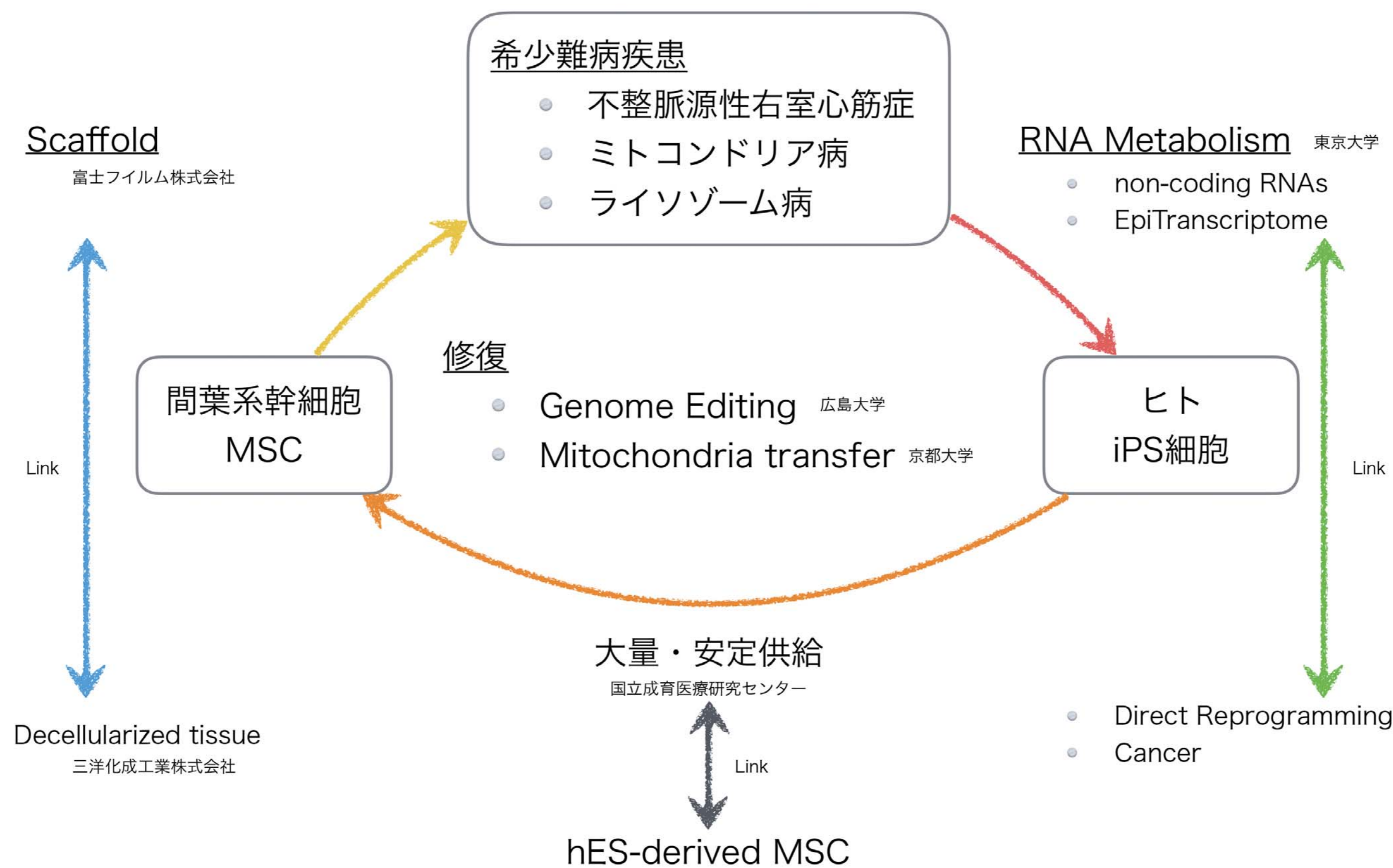
## 研究概要

単一遺伝子疾患に関しては、Genome Editing (CRISPR/Cas9) の手法を応用し、ミトコンドリア病に関してはミトコンドリア・トランスファーを応用することで、In Vitro で障害修復を行いiPS細胞へとリプログラムし、移植ドナー細胞として応用できると考えています。この一連の流れの中で、

1. より安定したiPS細胞の作成にRNA代謝のメカニズムをEpitranscriptomeの関連の中で検討
2. 移植ドナー細胞として間葉系幹細胞を想定して、その安定した供給システムの開発
3. 移植細胞の生存率向上にCollagen Peptideの応用

を研究しています。

強制的な修復とは別に、生体内再生現象の探求をもう一つの課題としており、古くて新しいテーマである断端再生現象の研究をしています。



## 研究概要

- ◇Ex Vivo Gene Therapy を行う中で、Theranostics としての Nanoparticle を用いたシステムを開発  
<Kami D., Nanomedicine NBM, 2014>
- ◆Mitochondria Transfer のメカニズム解析を行い、Macropinocytosis による細胞内取り込みと共生を実証  
<Kitani T., J.Cell.Mol.Med., 2014>
- ◇Whole Organ Decellularization の新しい Detergent を開発  
<Kawasaki T., J.Biomed.Mat.Res., 2015; 特許申請中>
- ◆ARVC と同じ心筋内脂肪変性が虚血再灌流障害で起こることを確認し、Klf4/c-Myc が Key Player であることを発見  
<Kami D., Cell Death & Disease, 2016>
- ◇Gene Therapy の効率向上に超音波を用いる Sonoporation による Oligonucleotide の高効率導入法を確立  
<Ishida R., Mol.Thera., 2016>
- ◆断端再生現象は腎臓での報告はありませんでしたが、新生児ラットにおいて形態形成を伴う再生を確認  
<Kirita Y., Sci.Rep., 2016; 朝日新聞掲載 (2016.6.16 朝刊)>

## 研究室概要

代表 | 五條 理志  
所在地 | 京都市上京区河原町通広小路上る梶井町465  
電話番号 | 075-251-5752