

総括研究報告書

1. 研究開発課題名：G-C S Fによる筋ジストロフィー治療方法の開発
2. 研究開発代表者： 福田 恵一（慶應義塾大学医学部循環器内科 教授）
3. 研究開発の成果

1980年代後半にデュシェンヌ型筋ジストロフィーの原因遺伝子として **dystrophin** が同定され、様々な基礎研究が進み、病態の解明に至り、治療法の確立が期待された。しかし現在でも治療法は確立されていない。リハビリ、人工呼吸器などの補助医療の進歩などにより、以前は10代で死亡していた同疾患が30代まで生きることもあるようになってきた。しかしながら幼少期より発症・進展する悲惨な経過をとる本疾患に対して、希望を与えることができるような治療法を早急に開発する必要がある。これまでに試みられてきたものに、筋芽細胞移植、アデノ付随ウイルス(AAV)等を用いた遺伝子治療、エクソンスキッピングなどがある。しかしながら、細胞移植に関しては今のところ効果が不十分であり、遺伝子治療は効果や遠隔期の安全性等において未解決な部分が多く、エクソンスキッピングに関しても変異部位によっては効果がないこと等があり、それらが一般的な治療法になるにはまだ時間がかかる。

G-CSFは主に化学療法後の白血球低下に対して、もしくは造血幹細胞の末梢血への動員に用いられている薬剤である。広く用いられている薬剤である。G-CSFの骨格筋に対する作用の検討は、これまでに成されておらず、全く未知であった。我々はG-CSFが骨格筋の再生促進作用を有することを見出しており、本研究において筋ジストロフィーへの治療効果を動物モデルにより検証する。本研究において用いるG-CSFは既に広く臨床で用いられているために安全性が確保されており、新規の薬剤開発よりヒトへの臨床応用への道筋は短いと考えられる。本研究期間において、動物モデルを用いた詳細な検討を行うことにより、その効果と安全性を詳細に解析する。