

平成 27～28 年度 委託研究開発成果報告書

I. 基本情報

事業名：(日本語) 難治性疾患実用化研究事業

(英 語) Practical Research Project for Rare / Intractable Diseases

研究開発課題名：(日本語) 筋萎縮性側索硬化症(ALS)新規治療法開発をめざした病態解明

(英 語) Establishment of Novel Treatments for Amyotrophic Lateral Sclerosis

研究開発担当者 (日本語) 東北大学大学院医学系研究科 教授 青木 正志

所属 役職 氏名：(英 語) Prof. Masashi Aoki, Department of Neurology, Tohoku University

Graduate School of Medicine

実 施 期 間：平成 27 年 4 月 1 日 ～ 平成 29 年 3 月 31 日

分担研究 (日本語) 非臨床試験マネジメントおよび治験プロトコル作成

開発課題名：(英 語) Management of preclinical study and creation of clinical trial protocols

研究開発分担者 (日本語) 岐阜大学医学部附属病院先端医療・臨床研究推進センター

准教授 浅田 隆太

所属 役職 氏名：(英 語) Associate Prof. Ryuta Asada, Center for Advanced Medicine and Clinical Research, Gifu University Hospital

分担研究 (日本語) 骨髄移植と血管新生促進因子による ALS 再生戦略の開発

開発課題名：(英 語) Development of regenerative strategy by bone marrow transplantation combined with angiogenic factor in ALS

研究開発分担者 (日本語) 岡山大学大学院医歯薬学総合研究科脳神経内科学 教授 阿部 康二

所属 役職 氏名：(英 語) Prof. Koji Abe, Department of Neurology, Okayama University Graduate School of Medicine, Dentistry and Pharmaceutical Sciences

分担研究 (日本語) 疾患特異的 iPSC 細胞を用いた ALS 病態解析・薬効評価基盤の構築

所属 役職 氏名：(英 語) Establishment of Novel ALS Model and Drug Screening System Using iPSC Technology

研究開発担当者 (日本語) 慶應義塾大学医学部生理学教室 教授 岡野栄之  
所属 役職 氏名 : (英 語) Prof. Hideyuki Okano, Department of Physiology, Keio University School of Medicine

分担研究 (日本語) 筋萎縮性側索硬化症の病態形成における TDP-43 自己制御機構の解明  
所属 役職 氏名 : (英 語) Investigation of TDP-43 self-regulation mechanism in ALS pathogenesis

研究開発担当者 (日本語) 新潟大学脳研究所 教授 小野寺 理  
所属 役職 氏名 : (英 語) Prof. Osamu Onodera, Brain Research Institute, Niigata University

分担研究 (日本語) RNA 編集異常による運動ニューロン死カスケードの解明と治療法の開発  
開発課題名 : (英 語) Development of ALS therapy targeting inefficient RNA editing in dying motor neurons

研究開発分担者 (日本語) 東京大学大学院医学系研究科 客員研究員 郭 伸  
所属 役職 氏名 : (英 語) Dr. Shin Kwak, Visiting Scientist, Graduate School of Medicine, The University of Tokyo

分担研究 (日本語) 運動ニューロン病遺伝子 *TFG* トランスジェニックマウスの解析  
開発課題名 : (英 語) Investigation of mouse model for motor neuron disease, *TFG* transgenic mouse

研究開発分担者 (日本語) 徳島大学大学院 医歯薬学研究部 臨床神経科学分野 教授 梶 龍兒  
所属 役職 氏名 : (英 語) Prof. Ryuji Kaji, Department of Clinical Neuroscience, Institute of Biomedical Sciences, Tokushima University Graduate School.

分担研究 (日本語) プリンサルベージ回路の基質とならないキサンチン酸化還元酵素阻害剤の  
経口投与による新規 ALS 治療: Drug\_K&K  
開発課題名 : (英 語) New therapy (Drug\_K&K) of ALS: oral administration of xanthine oxidoreductase inhibitors that are not substrates for the purine salvage pathway.

研究開発分担者 (日本語) 鳥取大学医学部病理学講座脳病態医科学分野 准教授 加藤 信介  
所属 役職 氏名 : (英 語) Associate Prof. Shinsuke Kato, Division of Neuropathology, Department of Pathology, Tottori University Faculty of Medicine.

分担研究 (日本語) 新規クルクミン誘導体の ALS 治療薬としての可能性についての検討  
開発課題名 : (英 語) Novel curcumin derivative as a new therapeutic agent for ALS

- 研究開発分担者 (日本語) 山形大学医学部器官病態統御学 生命情報内科学分野 (内科学第三講座)  
教授 加藤 丈夫
- 所属 役職 氏名 : (英 語) Prof. Takeo Kato, Department of Neurology, Hematology, Metabolism,  
Endocrinology, and Diabetology, Yamagata University Faculty of  
Medicine
- 分担研究 (日本語) オプチニューリン欠損マウスの評価  
開発課題名 : (英 語) Evaluation of optineurin knockout mouse
- 研究開発分担者 (日本語) 広島大学原爆放射線医科学研究所分子疫学研究分野 教授 川上 秀史  
所属 役職 氏名 : (英 語) Prof. Hideshi Kawakami, Department of Epidemiology, Research Institute  
for Radiation Biology and Medicine, Hiroshima University
- 分担研究 (日本語) 筋萎縮性側索硬化症において特異な変動を示す循環環境中 microRNA  
開発課題名 : (英 語) The specifically regulated microRNA with liquid biopsy from amyotrophic  
lateral sclerosis
- 研究開発分担者 (日本語) 北海道大学大学院医学研究院神経病態学分野神経内科学教室  
教授 佐々木 秀直  
所属 役職 氏名 : (英 語) Prof. Hidenao Sasaki, Department of Neurology, Faculty of Medicine and  
Graduate School of Medicine, Hokkaido University
- 分担研究 (日本語) 孤発性 ALS 動物モデル確立、FUS を介する病態の解明と新規動物モデル  
開発  
開発課題名 : (英 語) Establishment of novel animal model for sporadic ALS: FUS-related  
pathogenesis
- 研究開発分担者 (日本語) 名古屋大学大学院医学系研究科特任研究部門神経変性・認知症制御研究部  
特任教授 祖父江 元  
所属 役職 氏名 : (英 語) Distinguished Prof. Gen Sobue, Research Division of Dementia and  
Neurodegenerative Disease, Nagoya University Graduate School of  
Medicine
- 分担研究 (日本語) 筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 新規治療法開発をめざした病態解明  
開発課題名 : (英 語) Research on pathogenesis of ALS toward novel treatment
- 研究開発分担者 (日本語) 京都大学医学研究科神経内科学 教授 高橋 良輔  
所属 役職 氏名 : (英 語) Prof. Ryosuke Takahashi, Department of Neurology, Kyoto University

分担研究	(日本語) ALS/FTD の病態関連蛋白質の蓄積機構
開発課題名 :	(英 語) Molecular Mechanisms of pathogenic protein aggregation in ALS/FTD
研究開発分担者	(日本語) 公益財団法人東京都医学総合研究所認知症・高次脳機能研究分野 分野長 長谷川 成人
所属 役職 氏名 :	(英 語) Masato Hasegawa, Project Leader, Department of Dementia and Higher Brain Function, Tokyo Metropolitan Institute of Medical Science
分担研究	(日本語) HGF による新規 ALS 治療法の開発 HGF と共に役する新規因子の網羅的解析
開発課題名 :	(英 語) Analyses of novel factors functioning with hepatocyte hrowth factor (HGF) in amyotrophic lateral sclerosis (ALS)
研究開発分担者	(日本語) 旭川医科大学教育研究推進センター センター長 教授 船越 洋
所属 役職 氏名 :	(英 語) Hiroshi Funakoshi, Professor and Director of Center for Advanced Research and Education (CARE), Asahikawa Medical University
分担研究	(日本語) ALS モデル動物・細胞を用いた内因性神経保護因子の同定
開発課題名 :	(英 語) Identifying endogenous neuroprotective factors using ALS model mice/cells
研究開発分担者	(日本語) 名古屋大学環境医学研究所 教授 山中 宏二
所属 役職 氏名 :	(英 語) Prof. Koji Yamanaka, Research Institute of Environmental Medicine, Nagoya University
分担研究	(日本語) 病原蛋白の伝播機構解明と治療法開発、TDP-43 病態の解明と新規動物モデル開発
開発課題名 :	(英 語) "TDP-43 propagation as a novel therapeutic target for ALS" and "Development of animal model for TDP-43-associated ALS"
研究開発分担者	(日本語) 東京医科歯科大学脳神経病態学分野 教授 横田隆徳
所属 役職 氏名:	(英 語) Prof. Takanori Yokota, Department of Neurology and Neurological Science, Tokyo Medical and Dental University

## II. 成果の概要（総括研究報告）

- ・ 研究開発代表者による報告の場合

本研究は、ALS 新規治療法開発を目的として計画された。ALS 治療法開発上の最重要課題を研究開発項目として設定し、(a) 新規 ALS 動物／細胞モデル開発、(b) 主要な ALS 関連分子病態の解明、(c) 病原蛋白伝播と抑止戦略の解明、(d) 診断・病態マーカー開発、(e) 神経再生療法の開発、(f) シーズの非臨床試験、(g) 総合推進会議 を実施した。

(a)および(b) 家族性 ALS 関連 *FUS* および *TARDBP* 変異 iPS 細胞由来の運動ニューロンを用いた病態解析基盤を構築でき、表現型を確認、既存薬スクリーニングを実施した。iPS 細胞／ES 細胞に遺伝子導入することで運動ニューロン分化率を向上させる化合物のハイスループットスクリーニング系を確立しヒットコンパウンドを得た。新規 ALS 動物／細胞モデルとして、*OPTN*欠損ヒト変異 *SOD1* 遺伝子導入マウス、*OPTN*ノックアウトマウス、ヒト *TFG* 遺伝子導入マウス、そして変異 TDP-43 発現ショウジョウバエモデルを作出した。また、FUS 機能喪失がもたらす病態を細胞レベルで解明し、海馬特異的 *FUS* ノックダウンによる新規 ALS/前頭側頭型認知症モデルマウスを開発した。FUS と SFPQ の質的機能喪失が Tau アイソフォーム (3R/4R) バランス変化を通じて病態に寄与することを発見した。さらに、TDP-43 と関連する重要な核内 Cajal 小体の容積が孤発性 ALS で減少していることを見出し、*in silico* モデル解析によって TDP-43 量制御に関するトレードオフ仮説を導いた。一方、ALS 病態における神経炎症悪化因子としてグリア細胞由来 TGF- $\beta$ を見出し、神経炎症制御による実験的モデル動物治療に成功した。ALS に広く共通する発症メカニズムとして小胞体・ミトコンドリア膜間領域 (MAM) の破綻を提唱した。

(c) TDP-43 凝集メカニズム・細胞外伝播メカニズムを解明するため、TDP-43 試験管内凝集系を構築した。その結果、C 末端領域を介した TDP-43 のシード依存性凝集を明瞭に示し、プロフィリン 1 変異による TDP-43 凝集も明らかにした。さらに、エクソソームを介した断片化 TDP-43 の細胞間伝播現象を生体内で証明した。

(d) 孤発性 ALS 診断マーカーとして *IDI1-2* 遺伝子と *PCSK6* 遺伝子コピー数異常を見出し、臨床表現型との関係を解明した。ALS 患者血漿および脳脊髄液を対象とした網羅的マイクロ RNA 解析により、孤発性 ALS 血漿および脳脊髄液における ALS 病態バイオマーカー候補を見出し報告した。

(e) ALS モデルマウスへの骨髓移植と G-CSF 併用による実験的治療を行い、神経および血管保護効果を見出した。また、再生阻害因子受容体が ALS モデルラット活性化アストロサイトに異所性発現していることを見出した。さらに、神経再生因子 HGF 遺伝子導入により運動ニューロン疾患モデルマウスの病態改善・寿命延長効果を得た。

(f) 新規経口薬として開発中のプリンサルベージ回路の基質とならないキサンチン酸化還元酵素阻害剤による ALS モデルマウス進行抑制実験に成功し、病理組織学的有効性を確認できた。また、孤発性 ALS モデルマウスに対する AMPA 受容体アンタゴニストの非臨床試験を実施し、投与法、評価法を決定し、短期および長期投与の安全性・有効性を確認した。さらに、ショウジョウバエモデルを用いて TDP-43 凝集抑制作用を示す TDP-43 結合核酸を同定し、脳へのデリバリーが可能な核酸医薬の開発に成功した。

(g) 総合推進会議としてワークショップと成果報告会を開催した。

以上の成果により、ALS 分子標的治療薬、将来的には神経再生療法の開発につながる本研究の発展が見込まれ、広く難治性神経筋疾患の医薬品開発に貢献すると期待される。

The objective of this study is to develop novel therapeutic strategies of amyotrophic lateral sclerosis (ALS), which is a devastating neurodegenerative disease characterized by progressive and systemic loss of motor neurons. We focused fundamental issues, as follows: (a) newly-developed animal/cellular models, (b) ALS-related molecular pathogenesis, (c) propagation of ALS-linked pathogenic proteins, (d) possible diagnostic/surrogate biomarkers, (e) neuroregeneration, (f) preclinical testing, and (g) promotion and management of the study group.

(a) and (b): Using patients-derived induced pluripotent stem (iPS) cells carrying familial ALS-linked mutant *FUS* or mutant *TARDBP*, we developed high-throughput drug-screening platforms, leading to several candidate compounds. As novel animal/cellular models of ALS, we also developed *OPTN*-knock out mice crossed with ALS-linked mutant Cu/Zn superoxide dismutase gene (*SOD1*) mice, mutant human TRK-fused gene (*TFG*) transgenic (Tg) mice, Drosophila expressing mutant TAR-DNA binding protein-43 (TDP-43). In addition, as an ALS/frontotemporal dementia model, hippocampus-specific *FUS* knock down mice clearly showed the functional loss of FUS and splicing factor, proline- and glutamine-rich (SFPQ) leads to the hippocampal neuronal loss through an increased 4-repeat/3-repeat tau ratio.

Moreover, we found decreased volume of intranuclear Cajal bodies, which is colocalized with TDP-43, in spinal motor neurons of patients with ALS. *In silico* analysis resulted in a trade-off hypothesis on the TDP-43 quantity control. On neuroinflammation, which is another key mechanism in ALS, astrocyte-derived TGF- $\beta$ 1 was found to accelerate disease progression in Tg mice with mutant ALS-linked *SOD1*. Furthermore, disruption of the mitochondria-associated membrane (MAM) has been revealed as a common pathomechanism in mutant sigma 1 receptor gene-linked ALS16 and mutant *SOD1*-linked ALS1.

(c): We identified the amino acid sequence required for aggregation of TDP-43, and the aggregation-responsible residues could convert the TDP-43 to amyloid-like fibrils. Transduction of the fibrils induced seed-dependent aggregation of TDP-43 in cultured cells. Additionally, ALS-linked profilin 1 mutants induced seed-dependent accumulation of TDP-43. Moreover, transduction of C-terminal fragments of TDP-43 in exosomes was demonstrated in mice. The seed-dependent propagation of TDP-43 pathology may be a novel biomarker and also an effective therapeutic target in ALS.

(d): Copy number variations in the isopentenyl diphosphate isomerase 1 and 2 gene (*IDI1-2*) and proprotein convertase subtilism/kinesin type 6 (*PCSK6*) were found to be a possible diagnostic marker of sporadic ALS. Comprehensive analysis of microRNA extracted from plasma or cerebrospinal fluid of patients with ALS revealed candidate microRNAs for surrogate biomarker in the disease.

(e): Bone marrow transplantation combined with administration of granulocyte colony stimulating factor (G-CSF) showed neuro- and angio-protection in a mouse model of ALS. Aberrant and progressive astrocytic expression of chondroitin sulfate proteoglycan receptors in ALS Tg rats provided insights into how the receptors become targets for constructing a regeneration-permissive microenvironment. In addition, overexpression of hepatocyte growth

factor, which is a potent neuroprotectant, in a mouse model of spinal and bulbar muscular atrophy showed an additive neuroprotective effect in combination with castration.

(f): To establish novel treatments for ALS, we conducted preclinical testing. A nonpurine-analogue inhibitor clearly showed a neuroprotective effect in ALS-linked mutant *SOD1*-Tg mice, resulting in delayed onset, prolonged survival and duration of the disease. Using AR2 mice, in which an RNA editing enzyme adenosine deaminase acting on RNA2 (ADAR2) is conditionally knocked out specifically in motor neurons, a selective and non-competitive  $\alpha$ -amino-3-hydroxy-5-methyl-4-isoxazolepropionic acid (AMPA) receptor antagonist significantly attenuated the ALS-like phenotype, leading to a Phase II clinical trial for sporadic ALS. Furthermore, by employing invitro transcription/translation system and Drosophila model expressing ALS-linked mutant TDP-43, we screened and identified inhibitory nucleic acids for TDP-43 aggregation.

Taken together, the present study has uncovered novel underlying mechanisms and therapeutic targets, providing promising strategies for the treatment of ALS.

- ・ 研究開発分担者による報告の場合

### III. 成果の外部への発表

#### (1) 学会誌・雑誌等における論文一覧 (国内誌 19 件、国際誌 67 件)

1. Nishiyama A, Niihori T, Warita H, Izumi R, Akiyama T, Kato M, Suzuki N, Aoki Y, Aoki M. Comprehensive targeted next-generation sequencing in Japanese familial amyotrophic lateral sclerosis. **Neurobiol Aging**. 2017; 53: 194.e1-194.e8.
2. Tanaka Y, Suzuki G, Matsuwaki T, Hosokawa M, Serrano G, Beach TG, Yamanouchi K, Hasegawa M, Nishihara M. Progranulin regulates lysosomal function and biogenesis through acidification of lysosomes. **Hum Mol Genet**. 2017, 26, 969-988.
3. Yamashita T, Aizawa H, Teramoto S, Akamatsu M, Kwak S. Calpain-dependent disruption of nucleo-cytoplasmic transport in ALS motor neurons. **Sci Rep**. 2017; 7:39994. doi: 10.1038/srep39994.
4. Murakami N, Imamura K, Izumi Y, Egawa N, Tsukita K, Enami T, Yamamoto T, Kawarai T, Kaji R, Inoue H. Proteasome impairment in neural cells derived from HMSN-P patient iPSCs. **Mol Brain**. 2017; 10: 7.
5. Abe K, Ohkubo T, Yokota T. TDP-43 in the skin of amyotrophic lateral sclerosis patients. **J Med Dent Sci**. 2017; 64(1): 9-17.
6. Ishiguro T, Sato N, Ueyama M, Fujikake N, Sellier C, Kanegami A, Tokuda E, Zamiri B, Gall-Duncan T, Mirceta M, Furukawa Y, Yokota T, Wada K, Taylor JP, Pearson CE, Charlet-Berguerand N, Mizusawa H, Nagai Y, Ishikawa K. Regulatory role of chaperone TDP-43 for RNA misfolding and repeat-associated translation in SCA31. **Neuron**. 2017, 5; 94(1): 108-124.
7. Yagi Y, Ohkubo T, Kawaji H, Machida A, Miyata H, Goda S, Roy S, Hayashizaki Y, Suzuki H, Yokota T. Next-generation sequencing-based small RNA profiling of cerebrospinal fluid

- exosomes. *Neurosci Lett.* 2017; 636: 48-57.
8. Tokuda E, Anzai I, Nomura T, Toichi K, Watanabe M, Ohara S, Watanabe S, Yamanaka K, Morisaki Y, Misawa H, Furukawa Y. Immunohistochemical characterization on pathological oligomers of mutant Cu/Zn-superoxide dismutase in amyotrophic lateral sclerosis. *Mol Neurodeger.* 2017; 12(1): 2.
  9. Ishigaki S, Fujioka Y, Okada Y, Riku Y, Udagawa T, Honda D, Yokoi S, Endo K, Ikenaka K, Takagi S, Iguchi Y, Sahara N, Takashima A, Okano H., Yoshida M, Warita H, Aoki M, Watanabe H, Okado H, Katsuno M, Sobue G. Altered Tau Isoform Ratio Caused by Loss of FUS and SFPQ Function Leads to FTLD-like Phenotypes. *Cell Rep.* 2017; 18: 1118-1131.
  10. Jiang H, Shimizu H, Shiga A, Tanaka M, Onodera O, Kakita A, Takahashi H. Familial amyotrophic lateral sclerosis with an I104F mutation in the *SOD1* gene: Multisystem degeneration with neurofilamentous aggregates and SOD1 inclusions. *Neuropathology.* 2017; 37(1): 69-77.
  11. Yaguchi H, Takeuchi A, Horiuchi K, Takahashi I, Shirai S, Akimoto S, Satoh K, Moriwaka F, Yabe I, Sasaki H. Amyotrophic lateral sclerosis with frontotemporal dementia (ALS-FTD) syndrome as a phenotype of Creutzfeldt-Jakob disease (CJD)? A case report. *J Neurol Sci.* 2017; 372: 444-446.
  12. 小峯起、山中宏二. グリアー末梢免疫組織連関からみた神経変性機序の解明・筋萎縮性側索硬化症を中心として- 脳内環境 維持機構と破綻がもたらす疾患研究. 遺伝子医学 MOOK (メディカルドゥ) 2017; 26, 84-89.
  13. Anzai I, Tokuda E, Mukaiyama A, Akiyama S, Endo F, Yamanaka K, Misawa H, Furukawa Y. A misfolded dimer of Cu/Zn-superoxide dismutase leading to pathological oligomerization in amyotrophic lateral sclerosis. *Protein Science.* 2016; 26(3): 484-496.
  14. Morisaki Y, Niikura M, Watanabe M, Onishi K, Tanabe S, Moriwaki Y, Okuda T, Ohara S, Murayama S, Takao M, Uchida S, Yamanaka K, Misawa H. Selective expression of osteopontin in ALS-resistant motor neurons is a critical determinant of late phase neurodegeneration mediated by matrix metalloproteinase-9. *Sci Rep.* 2016; 6: 27354.
  15. Watanabe S, Ilieva H, Tamada H, Nomura H, Komine O, Endo F, Jin S, Mancias P, Kiyama H, Yamanaka K. Mitochondria-associated membrane collapse is a common pathomechanism in SIGMAR1- and SOD1-linked ALS. *EMBO Mol Med.* 2016; 8(12): 1421-1437.
  16. Endo F, Komine O, Yamanaka K. Neuroinflammation in motor neuron disease. *Clin Exp Neuroimmunol.* 2016; 7(2): 126-138.
  17. Yamanaka K. Neuroinflammation in aging and neurodegeneration. *Clin Exp Neuroimmunol.* 2016; 7(2): 107.
  18. Ohta Y, Soucy G, Phaneuf D, Audet JN, Gros-Louis F, Rouleau GA, Blasco H, Corcia P, Andersen PM, Nordin F, Yamashita T, Abe K, Julien JP. Sex-dependent effects of chromogranin B P413L allelic variant as disease modifier in amyotrophic lateral sclerosis. *Hum Mol Genet.* 2016, 25, 4771-4786.

19. Fukui Y, Hishikawa N, Shang J, Sato K, Nakano Y, Morihara R, Ohta Y, Yamashita T, Abe K. Peripheral arterial endothelial dysfunction of neurodegenerative diseases. **J Neurol Sci.** 2016; 366: 94-99.
20. Akamatsu M, Yamashita T, Hirose N, Teramoto S, Kwak S. The AMPA receptor antagonist perampanel rescues ALS pathology in sporadic ALS model mice. **Sci Rep.** 2016; 6: 28649.
21. Yamazaki K, Fukushima K, Sugawara M, Tabata Y, Imaizumi Y, Ishihara Y, Ito M, Tsukahara K, Kohyama J, Okano H. Functional Comparison of Neuronal Cells Differentiated from Human Induced Pluripotent Stem Cell-Derived Neural Stem Cells under Different Oxygen and Medium Conditions. **J Biomol Screen.** 2016; 21(10): 1054-1064.
22. Fujimori K, Tezuka T, Ishiura H, Mitsui J, Doi K, Yoshimura J, Tada H, Matsumoto T, Isoda M, Hashimoto R, Hattori N, Takahashi T, Morishita S, Tsuji S, Akamatsu W, Okano H. Modeling neurological diseases with induced pluripotent cells reprogrammed from immortalized lymphoblastoid cell lines. **Mol Brain.** 2016; 9(1): 88.
23. Yamazaki Y, Hikshima K, Saiki M, Inada M, Sasaki E, Lemon RN, Price CJ, Okano H, Iriki A. Neural changes in the primate brain correlated with the evolution of complex motor skills. **Sci Rep.** 2016; 6: 31084.
24. Fukusumi H, Shofuda T, Bamba Y, Yamamoto A, Kanematsu D, Handa Y, Okita K, Nakamura M, Yamanaka S, Okano H, Kanemura Y. Establishment of Human Neural Progenitor Cells from Human Induced Pluripotent Stem Cells with Diverse Tissue Origins. **Stem Cells Int.** 2016; 2016: 7235757.
25. Isoda M, Kohyama J, Iwanami A, Sanosaka T, Sugai K, Yamaguchi R, Matsumoto T, Nakamura M, Okano H. Robust production of human neural cells by establishing neuroepithelial-like stem cells from peripheral blood mononuclear cell-derived feeder-free iPSCs under xeno-free conditions. **Neurosci Res.** 2016 Apr 12. doi: 10.1016/j.neures.2016.04.003.
26. Ishikawa KI, Yamaguchi A, Okano H, Akamatsu W. Assessment of Mitophagy in iPS Cell-Derived Neurons. **Methods Mol Biol.** 2017 Mar 22. doi: 10.1007/7651\_2017\_10.
27. Nakatsuji H, Araki A, Hashizume A, Hijikata Y, Yamada S, Inagaki T, Suzuki K, Banno H, Suga N, Okada Y, Ohyama M, Nakagawa T, Kishida K, Funahashi T, Shimomura I, Okano H, Katsuno M, Sobue G. Correlation of insulin resistance and motor function in spinal and bulbar muscular atrophy. **J Neurol.** 2017 Feb 22. doi: 10.1007/s00415-017-8405-3.
28. Uchida T, Tamaki Y, Ayaki T, Shodai A, Kaji S, Morimura T, Banno Y, Nishitsuji K, Sakashita N, Maki T, Yamashita H, Ito H, Takahashi R, Urushitani M. **Sci Rep.** 2016; 6: 19118.
29. Koyama A, Sugai A, Kato T, Ishihara T, Shiga A, Toyoshima Y, Koyama M, Konno T, Hirokawa S, Yokoseki A, Nishizawa M, Kakita A, Takahashi H, Onodera O. Increased cytoplasmic *TARDBP* mRNA in affected spinal motor neurons in ALS caused by abnormal autoregulation of TDP-43. **Nucleic Acids Res.** 2016; 44(12): 5820-5836.
30. Hayashi K, Mochizuki Y, Takeuchi R, Shimizu T, Nagao M, Watabe K, Arai N, Oyanagi K, Onodera O, Hayashi M, Takahashi H, Kakita A, Isozaki E. Clinicopathological characteristics of patients with amyotrophic lateral sclerosis resulting in a totally locked-in

- state (communication Stage V). *Acta Neuropathol Commun.* 2016; 4(1): 107.
31. Takeuchi R, Tada M, Shiga A, Toyoshima Y, Konno T, Sato T, Nozaki H, Kato T, Horie M, Shimizu H, Takebayashi H, Onodera O, Nishizawa M, Kakita A, Takahashi H. Heterogeneity of cerebral TDP-43 pathology in sporadic amyotrophic lateral sclerosis: Evidence for clinicopathologic subtypes. *Acta Neuropathol Commun.* 2016; 4(1): 61.
  32. Nakazawa S, Oikawa D, Ishii R, Ayaki T, Takahashi H, Takeda H, Ishitani R, Kamei K, Takeyoshi I, Kawakami H, Iwai K, Hatada I, Sawasaki T, Ito H, Nureki O, Tokunaga F. Linear ubiquitination is involved in the pathogenesis of optineurin-associated amyotrophic lateral sclerosis. *Nat Commun.* 2016; 7: 12547.
  33. Enomoto M, Hirai T, Kaburagi H, Yokota T. Efficient Gene Suppression in Dorsal Root Ganglia and Spinal Cord Using Adeno-associated Virus Vectors Encoding Short-Hairpin RNA. *Methods Mol Biol.* 2016; 1364: 277-290.
  34. Asami Y, Yoshioka K, Nishina K, Nagata T, Yokota T. Drug delivery system of therapeutic oligonucleotides. *Drug Discov Ther.* 2016, 10(5):256-262.
  35. Riku Y, Watanabe H, Yoshida M, Mimuro M, Iwasaki Y, Masuda M, Ishigaki S, Katsuno M, Sobue G. Marked Involvement of the Striatal Efferent System in TAR DNA-Binding Protein 43 kDa-Related Frontotemporal Lobar Degeneration and Amyotrophic Lateral Sclerosis. *J Neuropathol Exp Neurol.* 2016 Jun 26. doi: 10.1093/jnen/nlw053.
  36. Masuda M, Senda J, Watanabe H, Epifanio B, Tanaka Y, Imai K, Riku Y, Li Y, Nakamura R, Ito M, Ishigaki S, Atsuta N, Koike H, Katsuno M, Hattori N, Naganawa S, Sobue G. Involvement of the caudate nucleus head and its networks in sporadic amyotrophic lateral sclerosis-frontotemporal dementia continuum. *Amyotroph Lateral Scler Frontotemporal Degener* 2016; 17, 571-579.
  37. Yabe I, Nakano F, Shirai S, Matsushima M, Takahashi I, Sasaki H. Frontotemporal dementia and progressive supranuclear palsy-like syndrome with a novel *TARDBP* mutation. *Neurol Clin Neurosci.* 2016; 4: 76-77.
  38. Takahashi I, Hama Y, Matsushima M, Hirotani M, Kano T, Hohzen H, Yabe I, Utsumi J, Sasaki H. Identification of plasma microRNAs as a biomarker of sporadic Amyotrophic Lateral Sclerosis. *Mol Brain.* 2015; 8(1): 67.
  39. Kato S, Kato M, Kusano T, Nishino T. New strategy that delays progression of amyotrophic lateral sclerosis in G1H-G93A transgenic mice: oral administration of xanthine oxidoreductase inhibitors that are not substrates for the purine salvage pathway. *J Neuropathol Exp Neurol.* 2016, 75, 12, 1124-1144.
  40. 丸山博文, 森野豊之, 川上秀史. 家族性 ALS の原因遺伝子 update BRAIN and NERVE—神経研究の進歩. 2016; 68: 1081-1086.
  41. 小峯起、中山宏二. 免疫性神経疾患の基礎科学--神経科学の立場から. *Modern Physician*, 新興医学出版社 7 月号 免疫性・炎症性神経疾患—病態解明から疾患修飾薬開発まで. 2016; 36(7): 619-623.
  42. 中山宏二. ミクログリア：正常と病態. 医学のあゆみ (医歯薬出版) マクロファージのすべて, 2016; 259(5): 431-435.

43. 横田隆徳、仁科一隆、桑原宏哉：核酸医薬を用いた遺伝子治療の展望. 神経治療学 2016; 33(3): 303-306
44. 佐野達彦、吉岡耕太郎、永田哲也、横田隆徳：神経疾患の核酸医学と遺伝子治療. Mebio 2016; 33 (11): 89-98
45. 小野大介、吉岡耕太郎、永田哲也、横田隆徳：DNA/RNA ヘテロ 2 本鎖核酸の開発. Medical Science Digest 2016; 42(10): 18-21
46. 大谷木正貴、横田隆徳：核酸医薬による神経変性疾患の治療. 生体の科学 2016, 67(4): 349-353
47. 横田隆徳: 東京医科歯科大学を「核酸医薬」における研究の中心拠点へ. 医科歯科大 Bloom! 2016; 20: 12-13
48. 永田哲也、横田隆徳：国内発の核酸医薬品の開発に向けて. MEDCHEM NEWS. 2016; 26(1): 34-37
49. 古川迪子、永田哲也、三條伸夫、横田隆徳: 革新的新規核酸医薬による神経疾患の治療. Dementia Japan. 2016, 30(1): 9-19.
50. 荒若繁樹、加藤丈夫. 筋萎縮性側索硬化症の病態と治療の展望. Geriatric Medicine. 2016; 54(3): 239-242.
51. 青木正志, 割田 仁, 鈴木直輝, 加藤昌昭. HGF による筋萎縮性側索硬化症 (ALS) に対する治療法の開発. 生体の科学 2016; 67(4): 344-348.
52. Hamasaki H, Takeuchi Y, Masui Y, Ohta Y, Abe K, Yoshino H, Yanai H. Development of diabetes in a familial amyotrophic lateral sclerosis patient carrying the I113T SOD1 mutation. Case Report. **Neuro Endocrinol Lett.** 2015; 36(5): 414-416.
53. Shimojo D, Onodera K, Doi-Torii Y, Ishihara Y, Hattori C, Miwa Y, Tanaka S, Okada R, Ohyama M, Shoji M, Nakanishi A, Doyu M, Okano H, Okada Y. Rapid, efficient, and simple motor neuron differentiation from human pluripotent stem cells. **Mol Brain.** 2015; 8(1): 79.
54. Sugai K, Nishimura S, Kato-Negishi M, Onoe H, Iwanaga S, Toyama Y, Matsumoto M, Takeuchi S, Okano H, Nakamura M. Neural stem/progenitor cell-laden microfibers promote transplant survival in a mouse transected spinal cord injury model. **J Neurosci Res.** 2015; 93(12): 1826-1838.
55. Hasegawa M, Hara-Miyauchi C, Ohta H, Sakimura K, Okano H, Okano HJ. Analysis of RNA metabolism in peripheral WBCs of TDP-43 KI mice identifies novel biomarkers of ALS. **Neurosci Res.** 2016; 106: 12-22.
56. Lin ZY, Hikabe O, Suzuki S, Hirano T, Siomi H, Sasaki E, Imamura M, Okano H. Sphere-formation culture of testicular germ cells in the common marmoset, a small New World monkey. **Primates.** 2016; 57(1): 129-135.
57. Chhangani D, Endo F, Amanullah A, Upadhyay A, Watanabe S, Mishra R, Yamanaka K, Mishra A. Mahogunin ring finger 1 confers cytoprotection against mutant SOD1 aggresomes and is defective in an ALS mouse model. **Neurobiol Dis.** 2016; 86: 16-28.
58. Akiyama T, Warita H, Kato M, Nishiyama A, Izumi R, Ikeda C, Kamada M, Suzuki N, Aoki M. Genotype-phenotype relationships in familial amyotrophic lateral sclerosis with *FUS/TLS* mutations in Japan. **Muscle Nerve.** 2016; 54(3): 398-404.

59. Nishiyama A, Warita H, Takahashi T, Suzuki N, Nishiyama S, Tano O, Akiyama T, Watanabe Y, Takahashi K, Kuroda H, Kato M, Tateyama M, Niihori T, Aoki Y, Aoki M. Prominent sensory involvement in a case of familial amyotrophic lateral sclerosis carrying the L8V *SOD1* mutation. **Clin Neurol Neurosurg.** 2016; 150: 194-196.
60. Yasui T, Mabuchi Y, Toriumi H, Ebine T, Niibe K, Houlihan DD, Morikawa S, Onizawa K, Kawana H, Akazawa C, Suzuki N, Nakagawa T, Okano H, Matsuzaki Y. Purified Human Dental Pulp Stem Cells Promote Osteogenic Regeneration. **J Dent Res.** 2016; 95(2): 206-214.
61. Tsuyama J, Bunt J, Richards LJ, Iwanari H, Mochizuki Y, Hamakubo T, Shimazaki T, Okano H. MicroRNA-153 Regulates the Acquisition of Gliogenic Competence by Neural Stem Cells. **Stem Cell Reports.** 2015; 5(3): 365-377.
62. Yokota K, Kobayakawa K, Kubota K, Miyawaki A, Okano H, Ohkawa Y, Iwamoto Y, Okada S. Engrafted Neural Stem/Progenitor Cells Promote Functional Recovery through Synapse Reorganization with Spared Host Neurons after Spinal Cord Injury. **Stem Cell Reports.** 2015; 5(2): 264-277.
63. Iwai H, Shimada H, Nishimura S, Kobayashi Y, Itakura G, Hori K, Hikishima K, Ebise H, Negishi N, Shibata S, Habu S, Toyama Y, Nakamura M, Okano H. Allogeneic Neural Stem/Progenitor Cells Derived From Embryonic Stem Cells Promote Functional Recovery After Transplantation Into Injured Spinal Cord of Nonhuman Primates. **Stem Cells Transl Med.** 2015; 4(7): 708-719.
64. Mabuchi Y, Okano H. Human somatic stem cell-based therapy for cartilage regeneration. **Ann Transl Med.** 2015; 3(Suppl 1): S17.
65. Andoh-Noda T, Akamatsu W, Miyake K, Matsumoto T, Yamaguchi R, Sanosaka T, Okada Y, Kobayashi T, Ohyama M, Nakashima K, Kurosawa H, Kubota T, Okano H. Differentiation of multipotent neural stem cells derived from Rett syndrome patients is biased toward the astrocytic lineage. **Mol Brain.** 2015; 8: 31.
66. Nakamae S, Kobatake Y, Suzuki R, Tsukui T, Kato S, Yamato O, Sakai H, Urushitani M, Maeda S, Kamishina H. Accumulation and aggregate formation of mutant superoxide dismutase 1 in canine degenerative myelopathy. **Neuroscience.** 2015; 303: 229-240.
67. Foyez T, Takeda-Uchimura Y, Ishigaki S, Narentuya, Zhang Z, Sobue G, Kadomatsu K, Uchimura K. Microglial keratan sulfate epitope elicits in central nervous tissues of transgenic model mice and patients with amyotrophic lateral sclerosis. **Am J Pathol.** 2015; 185(11): 3053-3065.
68. Hikiji T, Norisada J, Hirata Y, Okuda K, Nagasawa H, Ishigaki S, Sobue G, Kiuchi K, Ohhashi K. A highly sensitive assay of IRE1 activity using the small luciferase NanoLuc: Evaluation of ALS-related genetic and pathological factors. **Biochem Biophys Res Commun.** 2015; 463(4): 881-887.
69. Masuda A, Takeda J, Okuno T, Okamoto T, Ohkawara B, Ito M, Ishigaki S, Sobue G, Ohno K. Position-specific binding of FUS to nascent RNA regulates mRNA length. **Genes Dev.** 2015; 29(10): 1045-1057.

70. Udagawa T, Fujioka Y, Tanaka M, Honda D, Yokoi S, Riku Y, Ibi D, Nagai T, Yamada K, Watanabe H, Katsuno M, Inada T, Ohno K, Sokabe M, Okado H, Ishigaki S, Sobue G. FUS regulates AMPA receptor function and FTLD/ALS-associated behavior via GluA1 mRNA stabilization. *Nat Commun*. 2015; 6: 7098.
71. Ding Y, Adachi H, Katsuno M, Huang Z, Jiang YM, Kondo N, Iida M, Tohnai G, Nakatsuji H, Funakoshi H, Nakamura T, Sobue G. Overexpression of hepatocyte growth factor in SBMA model mice has an additive effect on combination therapy with castration. *Biochem Biophys Res Commun*. 2015; 468(4): 677-683.
72. Maekawa M, Iwayama Y, Ohnishi T, Toyoshima M, Shimamoto C, Hisano Y, Toyota T, Balan S, Matsuzaki H, Iwata Y, Takagai S, Yamada K, Ota M, Fukuchi S, Okada Y, Akamatsu W, Tsujii M, Kojima N, Owada Y, Okano H, Mori N, Yoshikawa T. Investigation of the fatty acid transporter-encoding genes SLC27A3 and SLC27A4 in autism. *Sci Rep*. 2015; 5: 16239.
73. Endo F, Komine O, Fujimori-Tonou N, Katsuno M, Jin S, Watanabe S, Sobue G, Dezawa M, Wyss-Coray T, Yamanaka K. Astrocyte-derived TGF-β1 accelerates disease progression in ALS mice by interfering with the neuroprotective functions of microglia and T cells. *Cell Rep*. 2015; 11(4): 592-604.
74. Endo F, Yamanaka K. Astrocytic TGF-β1: detrimental factor in ALS. *Oncotarget*. 2015; 6(18): 15728-15729.
75. Murakami M, Nishina K, Watanabe C, Yoshida-Tanaka K, Piao W, Kuwahara H, Horikiri Y, Miyata K, Nishiyama N, Kataoka K, Yoshida M, Mizusawa H, Yokota T. Enteral siRNA delivery technique for therapeutic gene silencing in the liver via the lymphatic route. *Sci Rep*. 2015; 5: 17035.
76. Nishina K, Piao W, Yoshida-Tanaka K, Sujino Y, Nishina T, Yamamoto T, Nitta K, Yoshioka K, Kuwahara H, Yasuhara H, Baba T, Ono F, Miyata K, Miyake K, Seth PP, Low A, Yoshida M, Bennett CF, Kataoka K, Mizusawa H, Obika S, Yokota T. DNA/RNA heteroduplex oligonucleotide for highly efficient gene silencing. *Nat Commun*. 2015; 6: 7969.
77. Nishina T, Numata J, Nishina K, Yoshida-Tanaka K, Nitta K, Piao W, Iwata R, Ito S, Kuwahara H, Wada T, Mizusawa H, Yokota T. Chimeric Antisense Oligonucleotide Conjugated to α-Tocopherol. *Mol Ther Nucleic Acids*. 2015; 4: e220.
78. Iwata R, Nakayama F, Hirochi S, Sato K, Piao W, Nishina K, Yokota T, Wada T. Synthesis and properties of vitamin E analog-conjugated neomycin for delivery of RNAi drugs to liver cells. *Bioorg Med Chem Lett*. 2015; 25(4): 815-819.
79. Izumi R, Warita H, Niihori T, Takahashi T, Tateyama M, Suzuki N, Nishiyama A, Shirota M, Funayama R, Nakayama K, Mitsuhashi S, Nishino I, Aoki Y, Aoki M. Isolated inclusion body myopathy caused by a multisystem proteinopathy-linked hnRNPA1 mutation. *Neurol Genet*. 2015; 1(3): e23.
80. Izumi R, Niihori T, Takahashi T, Suzuki N, Tateyama M, Watanabe C, Sugie K, Nakanishi H, Sobue G, Kato M, Warita H, Aoki Y, Aoki M. Genetic profile for suspected dysferlinopathy identified by targeted next-generation sequencing. *Neurol Genet*. 2015; 1(4): e36.

81. 山下博史, 漆谷真, 高橋良輔. 脊髄の運動ニューロンと ALS. 分子脳科学 2 章(化学同人) 2015. 4.
82. 瓦井俊孝, 森垣龍馬, 沖 良祐, 和泉唯信, 後藤 恵, 梶 龍兒. ALS and TFG. 神経内科. 2015.
83. 遠藤史人、山中宏二. 筋萎縮性側索硬化症(ALS)の分子遺伝学 update ALS と VCP/p97/Cdc48. 神経内科 (科学評論社) 2015.4.
84. 遠藤史人、山中宏二. 傍腫瘍性運動ニューロン疾患. 日本臨牀・増刊号 (日本臨牀社) 2015.9.
85. 遠藤史人、山中宏二. 筋萎縮性側索硬化症(ALS)におけるアストロサイト病態. 生体の科学 グリア研究の最先端 (医学書院) . 2015.12.
86. 小峯 起、山中宏二. ALS とミクログリア. Clinical Neuroscience 中外医学社, 2015.12.

## (2) 学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表

1. The efficacy of combined bone marrow transplantation plus G-CSF treatment in ALS mice, 口頭, Ohta Y, Sato K, Hisikawa N, Yamashita T, Abe K, 第 57 回日本神経学会総会, 2016/5/18, 国内.
2. Modeling Psychiatric/Neurological disorders using iPS cell technologies and transgenic non-human primates, 口頭, Okano H, International Symposium on Cell Physiology and Aging Research (Kaohsiung Medical University (KMU), Kaohsiung, Taiwan), 2016/4/12, 国外.
3. Modelling human neurological diseases using iPS cells and transgenic non-human primates, 口頭, Okano H, 11th International Conference for Neurons and Brain Disease (Sheraton Vancouver Wall Centre Hotel, Vancouver, Canada), 2016/7/16, 国外.
4. Modeling Human Neurological/ Psychiatric Disorders using iPS Cells and Transgenic Non-human Primates, 口頭, Okano H, Joint Symposium on Regenerative Medicine and Longevity, Washington University in St. Louis and Keio University (Large Conference Room, llF, Building 2, Keio University Hospital, Tokyo, Japan), 2016/8/20, 国内.
5. Modeling of Human Neurological/Psychiatric Disorders using IPS cells and Transgenic Non-Human Primates, 口頭, Okano H, Special Gus Gurley Seminar (Rathmann Auditorium, Neuroscience Research Institute, University of California, Santa Barbara, Santabarbara, California, USA), 2016/10/6, 国外.
6. New Insights from the Brain Mapping Project in Japan: Modeling Human Diseases with iPS cells and Transgenic Non-Human Primates, 口頭, Okano H, UC San Diego Medical Education & Telemedicine Building Learning Center Seminar (UC San Diego Medical Education & Telemedicine Building Learning Center, San Diego, California, USA), 2016/11/16, 国外.
7. iPS 細胞技術を用いた中枢神経系の新しい医療, 口頭, 岡野栄之, 第 8 回医療と産業の国際交流シンポジウム in 関西 (大阪大学中之島センター、大阪), 2016/4/2, 国内.
8. iPS 細胞技術を用いた中枢神経系の再生医療と疾患研究 (CNS Regeneration and Disease Investigation using iPS cell technologies) , 口頭 (特別講演) , 岡野栄之, 第 15 回国際バイオテクノロジー展 BIOteck2016 (東京ビッグサイト、東京) , 2016/5/12, 国内.

9. Regenerative Medicine and Disease Modeling with iPS cells technologies, 口頭（特別講演）, 岡野栄之, 第 14 回幹細胞シンポジウム（淡路夢舞台国際会議場、淡路）, 2016/5/20, 国内.
10. iPS 細胞を使った研究について, 口頭, 岡野栄之, 日医工株式会社講演会「iPS 細胞を使った研究について」（日医工株式会社グローバル開発センター、滑川市）, 2016/6/8, 国内.
11. iPS 細胞技術と遺伝子改変築長類による革新的医療の開発, 口頭（特別講演）, 岡野栄之, 第 36 回東邦耳鼻咽喉科会総会（大森 REI ホテル、東京）, 2016/6/11, 国内.
12. iPS 細胞技術を用いた神経疾患病態解明と創薬研究, 口頭, 岡野栄之, 第 37 回日本炎症・再生医学学会・シンポジウム（京都市勧業館みやこめっせ、京都）, 2016/6/16-17, 国内.
13. iPS 細胞と遺伝子改変築長類を用いた神経疾患研究, 口頭（特別講演）, 岡野栄之, 第 14 回鹿児島ニューロフォーラム（鹿児島大学鶴陵会館中会議室、鹿児島）, 2016/7/5, 国内.
14. iPS 細胞技術を用いた神経疾患病態解明と創薬研究, 口頭, 岡野栄之, ソニー ライフサイエンス学術セミナー2016（ソニーシティ一大崎、東京）, 2016/7/23, 国内.
15. iPS 細胞と遺伝子改変築長類技術を用いた神経疾患病態解明と創薬研究, 口頭（特別講演）, 岡野栄之, 第 27 回日本抹消神経学会学術集会・特別講演（大阪国際会議場・グランキューブ大阪、大阪）, 2016/8/26-27, 国内.
16. iPS 細胞と遺伝子改変築長類技術を用いた神経疾患病態解明と創薬研究, 口頭, 岡野栄之, 第 3 回包括的緩和医療科学学術研究会・第 4 回 Tokyo 疼痛緩和次世代研究会・合同研究会（TKP ガーデンシティ一永田町、東京）, 2016/8/28, 国内.
17. 幹細胞技術を用いた中枢神経系の再生と疾患・創薬研究, 口頭, 岡野栄之, 第 39 回高血圧学会総会・シンポジウム（仙台国際センター・新展示施設、仙台）, 2016/9/30-10/2, 国内.
18. iPS 細胞技術による神経系の再生と疾患研究, 口頭, 岡野栄之, 第 15 回京大病院 iPS 細胞・再生医学研究会（京都大学・芝蘭会館、京都）, 2016/1/19, 国内.
19. iPS 細胞と遺伝子改変築長類技術を用いた精神・神経疾患の病態解明と創薬研究, 口頭, 岡野栄之, MAC メディカル賀詞交換会（ホテルニューオータニ東京、東京）, 2017/1/25, 国内.
20. iPS 細胞技術の神経系の再生医療および疾患研究への応用, 口頭（特別講演）, 岡野栄之, 第 44 回日本集中治療医学会学術集会（ニトリ文化ホール、札幌）, 2017/3/9, 国内.
21. iPS 細胞技術と遺伝子改変築長類を用いた精神・神経疾患の病態解析と創薬研究, 口頭, 岡野栄之, 第 90 回日本薬理学会年会・ランチョンセミナー（長崎ブリックホール、長崎）, 2017/3/15-17, 国内.
22. iPS 細胞分化誘導薬理学研究と疾患 iPS 細胞治療薬理学研究の最潮流, 口頭, 岡野栄之, 第 90 回日本薬理学会年会・シンポジウム（長崎ブリックホール、長崎）, 2017/3/15-17, 国内.
23. iPS 細胞と遺伝子改変築長類技術を用いた精神・神経疾患研究, 口頭, 岡野栄之, 立教大学ブランディング事業シンポジウム（立教大学、東京）, 2017/3/23, 国内.
24. iPS 細胞技術を用いた中枢神経系の再生医療と創薬研究, 口頭（特別講演）, 岡野栄之, 平成 28 年度神戸再生医療勉強会（第 6 回）（神戸臨床情報センター、神戸）, 2017/3/30, 国内.
25. Library screening to identify compounds that promote MNs generation from iPSCs, ポスター, 後藤和也, 高橋良輔ら, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/21, 国内.
26. Clinicopathologic study of autopsied familial ALS cases with optineurin mutation, 口頭, 綾木孝, 高橋良輔ら, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/21, 国内.

27. Microarray analysis in Motor Neuron-Specific 26S Proteasome Conditional KO mice, ポスター, 星野友則, 高橋良輔ら, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/21, 国内.
28. Gene Expression Profiling of Motor Neuron in Motor Neuron-Specific 26S Proteasome Conditional Knockout Mice, ポスター, 星野友則, 高橋良輔ら, 第 38 回日本神経科学学会, 2015/7/28, 国内.
29. 胃腸症状症状の後に四肢呼吸筋麻痺のため 4 か月の経過で死亡し、SOD 陽性封入体を認め SOD 関連 ALS が疑われた剖検例, 口頭, 山口裕子、綾木孝、辰巳新水、山下博史、漆谷真、高橋良輔, 第 13 回日本神経病理学会近畿地方会, 2016/7/9, 国内.
30. Targeting therapy for sporadic ALS, 口頭, 郭 伸, Symposium VIII 「Neurological and Muscle Disease」第 22 回日本遺伝子細胞治療学会 (JSGCT2016) (虎ノ門ヒルズフォーラム東京), 2016/7/28-30, 国内.
31. 筋萎縮性側索硬化症の分子標的治療 Targeting amyotrophic lateral sclerosis, 口頭, 郭 伸、山下雄也、赤松恵、寺本さやか, 第 34 回神経治療学会総会 (米子), 2016/11/3, 国内.
32. A selective non-competitive AMPA receptor antagonist as a potential drug for sporadic amyotrophic lateral sclerosis (ALS) –rescue of motor dysfunctions and loss of motor neurons with TDP-43 pathology in ALS model mice, Akamatus M, Yamashita T, Teramoto S, Kwak S, ポスター, The 47th Annual Meeting Society for Neuroscience San Diego, 2016/11/12-16, 国外.
33. Robust beneficial effects of a non-competitive AMPA receptor antagonist in an ALS mouse model, ポスター, Akamatus M, Yamashita T, Teramoto S, Kwak S, The 27th International Symposium on MND/ALS, Dublin, Irland, 2016/12/7-9, 国外.
34. Fragility of TDP-43 autoregulation facilitates ALS pathology: an *in silico* study, ポスター, Sugai A, Kato T, Nishizawa M, Onodera O, 第 57 回日本神経学会学術大会 (神戸), 2016/5/20, 国内.
35. The SMN gene copy number states in Japanese ALS patients, 口頭, Ishihara T, Onodera O, et al., 第 57 回日本神経学会学術大会 (神戸), 2016/5/20, 国内.
36. SMN gene deletion is associated with developing risk of lower motor neuron disease in Japan, 口頭, Toyoda S, Ishihara T, Onodera O, et al., 第 57 回日本神経学会学術大会 (神戸), 2016/5/20, 国内.
37. The expression of endogenous Human retrovirus-K in the affected tissues of ALS patients, ポスター, Ishihara T, Onodera O, et al., Keystone Symposia for the 2016 conference, Colorado, USA, 2016/6/15, 国外.
38. ALS における RNA 代謝障害, 口頭, 石原智彦, 小野寺理, 第 46 回新潟神経学夏期セミナー (新潟), 2016/7/30, 国内.
39. A trade-off theory for TDP-43 proteinopathy; a 'robust yet fragile' nature of the autoregulation, ポスター, Sugai A, Onodera O, 11th Brain Research Conference, San Diego, USA, 2016/11/10-11, 国外.
40. Applying "CORRECT" for introducing a mutation in the *MAPT* gene, ポスター, Koike Y, Koyama A, Shiga A, Yokoseki A, Onodera O, 11th Brain Research Conference, San Diego, USA, 2016/11/10-11, 国外.

41. "CORRECT" for introducing nucleotide substitution with CRISPR/Cas9 system in *MAPT* gene, ポスター, Koike Y, Koyama A, Shiga A, Yokoseki A, Onodera O, 第 39 回分子生物学会, 横浜, 2016/12/2、国内、ポスター
42. A Homozygous loss-of-function mutation in DNAJA3 causes Hereditary Motor and Sensory Neuropathy with Spastic Paraplegia (HMSN type V), ポスター, Kawarai T, Miyamoto R, Kuroda Y, Omoto M, Ueyama M, Murakami N, Furukawa T, Oki R, Nodera H, Orlacchio A, Hashiguchi A, Higuchi Y, Takashima H, Kanda T, Izumi Y, Nagai Y, Mitsui T, Kaji R, 20th International Congress of International Parkinson and Movement Disorder Society, Berlin, Germany, 2016/6/19-23, 国外.
43. Animal model of HMSN-P, 口頭, Oki R, Tanabe A, Kawarai T, Oka N, Izumi Y, Kaji R, 第 57 回日本神経学会学術大会 (神戸) , 2016/5/20, 国内.
44. Clinicopathological features of HMSN-P in the Kansai area of Japan, 口頭, Kawarai T, Fujita K, Izumi Y, Yoshida M, Kaji R, 第 57 回日本神経学会学術大会 (神戸) , 2016/5/20, 国内.
45. プリンサルベージ回路の基質とならないキサンチン酸化還元酵素 (XOR) 阻害剤による ALS 神経細胞死抑制効果, 口頭, 加藤信介, 伊井真広, 小浜博司, 山形悠依, 加藤雅子, 草野輝男, 西野武士, 第 57 回日本神経病理学会総会学術研究会, 弘前(ホテルニューキャッスル), 2016/6/1-3, 国内.
46. ALS モデル動物における脊髄前角細胞と肝細胞の細胞傷害の相異に基づく ALS 新規治療法開発の基盤研究, 口頭, 加藤雅子, 加藤信介, 林一彦, 伊井真広, 小浜博司, 第 57 回日本神経病理学会総会学術研究会, 弘前(ホテルニューキャッスル), 2016/6/1-3, 国内.
47. 脊髄損傷の脊髄前角細胞における HGF (肝細胞増殖因子) — cMet システムの発現に関する研究 : 免疫組織学化学的解析, ポスター, 山形悠依, 小浜博司, 伊井真広, 瀧川みき, 加藤信介, 加藤雅子, 船越洋, 第 57 回日本神経病理学会総会学術研究会, 弘前(ホテルニューキャッスル), 2016/6/1-3, 国内.
48. HGF/c-Met 機構が ALS 細胞障害からの病理組織学的回復に関与する, 口頭, 加藤雅子, 林一彦, 加藤信介, 船越洋, 桑本聰史, 第 105 回日本病理学会, 仙台(仙台国際センター), 2016/5/12-14, 国内.
49. The characteristic localization of TDP-43 in the neuron containing mutated SOD1 (C111Y) aggregates, ポスター, Sumi-Akamaru H, Beck G, Yamadera M, Kato S, Fujimura H, Sakoda S, Mochizuki H, 第 57 回日本神経学会学術大会, 神戸(神戸コンベンションセンター神戸国際展示場), 2016/5/18-21, 国内.
50. ALS1 (C111Y) 患者一次運動野における TDP-43 の細胞内分布の特徴, 口頭, 隅寿恵, 別所豪一, 山寺みさき, 加藤信介, 藤村晴俊, 佐古田三郎, 望月秀樹, 第 57 回日本神経病理学会総会学術研究会, 弘前(ホテルニューキャッスル), 2016/6/1-3, 国内.
51. Accumulation of phosphorylated tau in neurons in *FUS*-silenced mice, 口頭, Ishigaki S, Fujioka Y, Honda D, Yokoi S, Endo K., Okado H, Watanabe H, Katsuno M, Takashima A., Sobue G, The 46th Society for Neuroscience annual meeting, San Diego, CA, 2016/11/12-16, 国外.
52. Identification of miRNAs in sporadic amyotrophic lateral sclerosis patients by liquid biopsy as a potential disease biomarker, ポスター, Takahashi I, Hama Y, Uwatoko H, Shirai S,

Matsushima M, Kano T, Yabe I, Onodera T, Utsumi J, Sasaki H, 神経科学学会, 2016/7/20, 国内.

53. Loss of SFPQ, an intra-nuclear counterpart of FUS causes FTLD-like phenotypes, ポスター, Fujioka Y, Ishigaki S, Yokoi S, Honda D, Okado H, Watanabe H, Katsuno M, Sobue G, The 46th Society for Neuroscience annual meeting, San Diego, CA, 2016/11/12-16, 国外.
54. Functional linkage between FUS and tau in ALS/FTLD, 口頭, Ishigaki S, Fujioka Y, Honda D, Yokoi S, Okado H, Watanabe H, Katsuno M, Sobue G, The 39th annual Meeting of the Japan Neuroscience Society, Symposium, Yokohama, Japan, 2016/7/20, 国内.
55. Loss of FUS causes phosphorylated tau accumulation in aged mice, 口頭, 石垣診祐、藤岡祐介、本田大祐、横井 聰、岡戸晴生、渡辺宏久、勝野雅央、祖父江 元, 第 57 回神経学会学術大会（神戸）, 2016/5/18-21, 国内.
56. Loss of PSF/SFPQ, an intra-nuclear counterpart of FUS causes FTLD-like phenotypes, 口頭, 藤岡祐介、石垣診祐、本田大祐、横井 聰、岡戸晴生、渡辺宏久、勝野雅央、祖父江 元, 第 57 回神経学会学術大会（神戸）, 2016/5/18-21, 国内.
57. 前頭側頭葉変性症と筋萎縮性側索硬化症の線条体では striosome の障害が特徴である, ポスター、陸 雄一、渡辺宏久、吉田眞里、三室マヤ、岩崎 靖、石垣診祐、祖父江 元、勝野雅央. 第 57 回神経学会学術大会（神戸）, 2016/5/18-21, 国内.
58. A rapid functional decline type of sporadic ALS is linked to low expression of TTN, ポスター, Atsuta N, Watanabe H, Hirakawa A, Nakamura R, Nakatomi M, Ishigaki S, Iida A, Ikegawa S, Yokoi D, Katsuno M, Izumi Y, Morita M, Taniguchi A, Abe K, Mizoguchi K, Kano O, Kaji R, Sobue G, JaCALS, 第 57 回神経学会学術大会（神戸）, 2016/5/18-21, 国内.
59. Loss of PSF/SFPQ, an intra-nuclear counterpart of FUS causes FTLD-like phenotypes, ポスター, Fujioka Y, Ishigaki S, Yokoi S, Honda D, Okado H, Watanabe H, Katsuno M, Sobue G. The 39th annual Meeting of the Japan Neuroscience Society（横浜）, 2016/7/20-22, 国内.
60. Chemical library screening to identify a small compound that promotes MNs differentiation from iPSCs/ESCs, ポスター, 後藤和也, 高橋良輔ら, 第 57 回神経学会学術大会（神戸）, 2016/5/18-21, 国内.
61. グリア細胞からみた神経変性疾患, 口頭, 山中宏二, 第 39 回日本神経科学大会, 2016/7/22, 国内.
62. ミクログリア・单球系細胞と神経変性疾患, 口頭, 山中宏二, 第 89 回日本生化学会大会, 2016/9/27, 国内.
63. Dysregulation of neuronal TGF- $\beta$  signaling contributes to neurodegeneration in mutant SOD1 mice, ポスター, 遠藤史人, 宮崎朗, 山中宏二, 第 57 回日本神経学会学術大会, 2016/5/20, 国内.
64. ALS の運動神経変性における TGF- $\beta$  シグナル伝達異常の意義. (Dysregulation of TGF- $\beta$  signaling facilitates motor neurodegeneration of ALS mice.), ポスター, 遠藤史人, 山中宏二, 第 39 回日本神経科学大会, 2016/7/21, 国内.
65. ALS モデルマウスにおける末梢免疫の役割 (The role of peripheral immune system in amyotrophic lateral sclerosis mice), ポスター, 小峯起, 大沼周平, 池田早織, 山中宏二, 第 39 回日本神経科学大会, 2016/7/20, 国内.

66. ユビキチン・プロテアソームシステム機能障害による運動ニューロン神経変性機序(The mechanism of motor neuron degeneration in ubiuitin proteasome system dysfunction), ポスター, 星野友則, 山下博史, 田代善崇, 三澤日出巳, 小峯起, 山中宏二, 漆谷真, 高橋良輔, 第39回日本神経科学大会, 2016/7/20, 国内.
67. 前頭側頭葉認知症モデル TDP-43 マウスにおける抑制性介在ニューロンの変性(Interneuron degeneration in TDP-43 transgenic mice displaying impaired memory), ポスター, 築地仁美, 井上育代, 古屋亜佐子, 竹内真理, 山影祐子, 服部光治, 山中宏二, 第39回日本神経科学大会, 2016/7/22, 国内.
68. ALS 病態における末梢免疫の役割, ポスター, 大沼周平, 小峯起, 山中宏二, 第38回日本生物学的精神医学会・第59回日本神経化学会大会合同年会, 2016/9/8, 国内.
69. Interneuron degeneration in TDP-43 transgenic mice displaying impaired memory, ポスター, Tsuji H, Inoue I, Furuya A, Takeuchi M, Yamakage Y, Hattori M, Yamanaka K, 4th RNA Metabolism in Neurological Disease, 2016/11/11, 国外.
70. Neuregulin 1 confers neuroprotection in SOD1-linked ALS mice via restoration of C-boutons of spinal motor neurons, ポスター, Komine O, Lasiene J, Fujimori-Tonou N, Powers B, Endo F, Watanabe S, Jin S, Ravits J, Horner P, Misawa H, Yamanaka K, The 27th International Symposium on ALS/MND, 2016/12/8, 国外.
71. Disruption of Mitochondria-associated membrane is a common pathomechanism both in SOD1-and SIGMAR1-linked ALS, ポスター, Watanabe S, Yamanaka K, The 27th International Symposium on ALS/MND, 2016/12/8, 国外.
72. In vivo and in vitro characterization of SOD1 in early stages of ALS as a precursor to insoluble aggregates, ポスター, Tokuda E, Anzai I, Nomura T, Ohara S, Watanabe S, Yamanaka K, Morisaki Y, Misawa H, Furukawa Y, The 27th International Symposium on ALS/MND, 2016/12/8, 国外
73. 認知症に対する新規分子標的治療の開発, 口頭, 横田隆徳, 第35回日本認知症学会総会, 2016/12/3, 国内.
74. DNA/RNA heteroduplex oligonucleotide for highly efficient gene silencing. 3rd International Conference on Biomaterials Science in Tokyo, 口頭, Yokota T, 2016/11/30, 国内.
75. Novel oligonucleotide to regulate the blood-brain barrier, 口頭, Kuwahara H, Shimoura T, Song J, Yoshida-Tanaka K, Mizuno T, Mochizuki T, Nishina K, Nagata T, Kusuhara H, Yokota T, 3rd International Conference on Biomaterials Science in Tokyo, 口頭, Yokota T, 2016/11/28, 国内.
76. 新規の二本鎖核酸医薬：オーバーハング二本鎖核酸, ポスター, 國枝泰希、吉岡耕太郎、浅見裕太郎、田中規恵、朴文英、桑原宏哉、仁科一隆、永田哲也、横田隆徳, 日本核酸医薬学会第2回年会, 2016/11/16, 国内.
77. デュアルオーバーハング2本鎖核酸医薬の開発, ポスター, 吉岡耕太郎、國枝泰希、筋野裕美子、浅見裕太郎、田中規恵、朴文英、桑原宏哉、仁科一隆、永田哲也、横田隆徳, 日本核酸医薬学会第2回年会, 2016/11/15, 国内.

78. GalNAc 結合ヘテロ二重鎖設計によるアンチセンス核酸の活性・毒性の改善, ポスター, 関口光明、阪上昌浩、堀真一郎、南部宏英、近藤千晶、渡邊郁剛、小比賀聰、横田隆徳、釘宮啓, 日本核酸医薬学会第 2 回年会, 2016/11/15, 国内.
79. ALS に対する核酸医薬治療, 口頭, 横田隆徳, 第 34 回日本神経治療学会総会, 2016/11/3, 国内.
80. 筋萎縮性側索硬化症(ALS)における下位運動神経の障害速度に上位運動神経障害は影響するか, 口頭, 叶内匡、関口輝彦、東田修二、横田隆徳, 第 46 回日本臨床神経生理学会学術大会, 2016/10/28, 国内.
81. Small RNA profiling of cerebrospinal fluid exosomes using next-generation sequencing, 口頭, Yagi Y, Ohkubo T, Kawaji H, Machida A, Miyata H, Goda S, Roy S, Hyashizaki Y, Suzuki H, Yokota T, American Society for Exosomes and Microvesicles 2016, 2016/10/21, 国外.
82. Intracellular mechanisms of microRNA inhibition by a new double-stranded structure for therapeutic oligonucleotide, ポスター, Yoshioka K, Sujino Y, Kunieda T, Tanaka K, Piao W, Kuwahara H, Nishina K, Nagata T, Yokota T, 12th Annual Meeting of the Oligonucleotide Therapeutics Society. 2016/9/27, 国外.
83. DNA/RNA heteroduplex oligonucleotide, ポスター, Yokota T, 12th Annual Meeting of the Oligonucleotide Therapeutics Society, 2016/9/27, 国外.
84. Pharmacokinetic study of double stranded antisense oligonucleotide: Hetero Chimera Duplex Oligonucleotide (HCDO), ポスター, Kunieda T, Yoshioka K, Sujino Y, Tanaka K, Piao W, Kuwahara H, Nishina K, Nagata T, Yokota T, 12th Annual Meeting of the Oligonucleotide Therapeutics Society. 2016/9/26, 国外.
85. New platform technology to regulate the blood-brain barrier function *in vivo*, ポスター, Kuwahara H, Shimoura T, Song J, Yoshida-Tanaka K, Mizuno T, Mochizuki T, Ohyagi M, Nishina K, Nagata T, Kusuhara H, Yokota T, 19th International Symposium on Signal Transduction at the Blood-Brain Barriers, 2016/9/14, 国外.
86. Propagation of TDP-43 in ALS, 口頭(招待講演), Yokota T, Propagation in Neurodegenerative Disease Conference 2016, 2016/8/11, 国外.
87. DNA/RNA heteroduplex oligonucleotide; a 3rd class of oligonucleotide drug, 口頭, Yokota T, 第 32 回日本 DDS 学会学術集会 ワークショッピング 3 核酸医薬の将来展望:日本核酸医薬学会の目指すもの, 2016/7/1, 国内.
88. DNA/RNA heteroduplex oligonucleotide (HDO) for highly efficient gene silencing, ポスター, Nishina K, Yoshida-Tanaka K, Piao W, Yokota T, The RNA society of Japan 18th annual meeting and The 21st annual meeting of the RNA society. Kyoto, Japan, 2016/6/30, 国内 (国際学会) .
89. Development of antisense oligonucleotide with a new type of a double stranded structure, ポスター, Kunieda T, Yoshioka K, Sujino Y, Tanaka K, Piao W, Kuwahara H, Nishina K, Nagata T, Yokota T, The RNA society of Japan 18th annual meeting and The 21st annual meeting of the RNA society. Kyoto, Japan, 2016/6/30, 国内 (国際学会) .
90. A new mechanism of microRNA inhibition by a new type of duplex oligonucleotide, ポスター, Yoshioka K, Sujino Y, Kunieda T, Tanaka K, Piao W, Kuwahara H, Nishina K, Nagata T, Yokota T, The RNA society of Japan 18th annual meeting and The 21st annual meeting of

- the RNA society. Kyoto, Japan, 2016/6/30, 国内（国際学会）.
91. Chemically modified RNAs inhibit TDP-43 aggregation, ポスター, Sakaue F, Yasuda E, Sano T, Ishiguro T, Nagata T, Yokota T, The RNA society of Japan 18th annual meeting and The 21st annual meeting of the RNA society. Kyoto, Japan, 2016/6/29, 国内（国際学会）.
  92. Novel oligonucleotide based on DNA/RNA heteroduplex structures, 口頭, Nishina K, Yoshioka K, Nishina T, Kuwahara H, Nagata T, Yokota T, 第 57 回日本神経学会学術大会, 2016/5/19, 国内.
  93. A C-terminal fragment of TDP-43 in exosomes mediates propagation of ALS pathology, ポスター, Abe K, Tajiri M, Yui D, Sasaguri H, Ohkubo T, Yokota T, 第 57 回日本神経学会学術大会, 2016/5/20, 国内.
  94. A novel platform technology to regulate the blood-brain barrier *in vivo*, 口頭, Kuwahara H, Shimoura T, Song J, Tanaka K, Nishina K, Nagata T, Yokota T, 第 57 回日本神経学会学術大会, 2016/5/19, 国内.
  95. A new type of double -stranded structure improved potency of antisense oligonucleotide for FAP, 口頭, Yoshioka K, Kunieda T, Tanaka K, Piao W, Kuwahara H, Nishina K, Nagata T, Yokota T, 第 57 回日本神経学会学術大会, 2016/5/19, 国内.
  96. DNA/RNA heteroduplex oligonucleotide for highly efficient gene silencing, ポスター, Yokota T, Oligonucleotide Therapeutics and Delivery, 2016/4/4, 国外.
  97. DNA/RNA heteroduplex oligonucleotide for highly efficient gene silencing, 口頭, Yokota T, 平成 28 年度日本大学学部連携研究推進シンポジウム/新規バイオ医薬ピロール・イミダゾール(PI)ポリアミドの創薬開発国際シンポジウム, 2017/2/24, 国内.
  98. 血液脳関門を突破するアンチセンス核酸のデリバリー技術の開発, 口頭, 臺藏魁一, 銭谷怜史, 桑原宏哉, 永田哲也, 浅田健, 近藤昌夫, 渡利彰浩, 横田隆徳, 第 9 回 CBIR+ONSA 共催若手インスピアシンポジウム, 2017/2/11, 国内.
  99. 二本鎖核酸をデリバリー担体として利用した新規核酸医薬の開発, ポスター, 國枝泰希, 吉岡耕太郎, 筋野裕美子, 田中規恵, 朴文英, 桑原宏哉, 仁科一隆, 永田哲也, 横田隆徳, 遺伝子・デリバリー研究会第 16 回シンポジウム（神奈川県川崎市）, 2016/5/16, 国内.
  100. 新規核酸医薬、DNA/RNA ヘテロ核酸の創生, 口頭, 横田隆徳, 生体分子素子技術を礎とするメディカル・バイオ研究の最先端シンポジウム（仙台）, 2016/3/18, 国内.
  101. 新規核酸医薬ヘテロ核酸の創生, 口頭, 横田隆徳, 第 1 回革新的バイオ研究開発シンポジウム, 2016/1/29, 国内.
  102. 第三の核酸医薬ヘテロ核酸の開発, 口頭, 横田隆徳, 岐阜大学大学院連合創薬医療情報研究科公開講座『先端に行く 連合創薬医療情報研究科 シンポジウム RNA 創薬の展望』, 2016/1/19, 国内.
  103. 新規核酸医薬:DNA/RNA ヘテロ核酸の創生, 口頭, 横田隆徳, 東レ医薬研究ワークショップ「核酸医薬」, 2016/1/8, 国内.
  104. Regenerative therapies for ALS using hepatocyte growth factor, 口頭（シンポジウム）, Suzuki N, Aoki M, 3rd World Centenarian Initiative International Symposium on Amyotrophic Lateral Sclerosis, 2016/2/19, 国内.

105. Isolated inclusion body myopathy caused by a multisystem proteinopathy-linked *hnRNPA1* mutation, 口頭, Izumi R, Warita H, Niihori T, Takahashi T, Tateyama M, Suzuki N, Nishiyama A, Shirota M, Funayama R, Nakayama K, Mitsuhashi S, Nishino I, Aoki Y, Aoki M, The 13th International Congress of Human Genetics, Kyoto, Japan, 2016/4/3-7, 国内.
106. Deciphering the expression and function of *C9ORF72* using mouse model, 口頭 (シンポジウム), Suzuki N, Aoki M, 第 57 回日本神経学会学術大会 (神戸), 2016/5/18-21, 国内.
107. Deciphering the expression and function of *C9ORF72* using mouse model, 口頭, Suzuki N, Burberry A, Maroof AM, Koszka K, Suzuki-Uematsu S, Into A, Moccia R, Davis-Dusenbery BN, Eggan K, Aoki M, 第 57 回日本神経学会学術大会 (神戸), 2016/5/18-21, 国内.
108. Isolated inclusion body myopathy caused by a multisystem proteinopathy-linked *hnRNPA1* mutation, 口頭, 井泉瑠美子, 割田 仁, 新堀哲也, 高橋俊明, 竪山真規, 鈴木直輝, 西山亜由美, 城田松之, 舟山 亮, 中山啓子, 三橋里美, 西野一三, 青木洋子, 青木正志, 第 57 回日本神経学会学術大会 (神戸), 2016/5/18-21, 国内.
109. Involvement of endogenous neural precursors in spinal cord of a rat model of ALS, ポスター, 割田 仁, 四條友望, 池田謙輔, 小野洋也, 秋山徹也, 光澤志緒, 西山亜由美, 井泉瑠美子, 鈴木直輝, 青木正志, 第 57 回日本神経学会学術大会 (神戸), 2016/5/18-21, 国内.
110. Neuroprotective and angiogenic effects of bone marrow transplantation combined with G-CSF in a mouse model of ALS, ポスター, Ohta Y, Sato K, Hishikawa N, Yamashita T, Abe K, CME2015, 岡山コンベンションセンター, 2015/6/19, 国内.
111. Modeling Human Neurological/Psychiatric Diseases using iPS cells and Transgenic Non-Human Primates, 口頭, Okano H, Regenerative Medicine Seminar Series (Stanford University, Stanford, CA, USA), 2015/12/10, 国外.
112. Modeling Psychiatric/Neurological disorders using iPS cell technologies and transgenic non-human primates, 口頭, Okano H, THE 12TH NIKKO INTERNATIONAL SYMPOSIUM 2015 FRONTIERS IN TRANSLATIONAL NEUROSCIENCE, 2015/11/20, 国外.
113. A New Power of Stem Cells: Preemptive Approach for Neurodegenerative Diseases and Dementia, 口頭, Okano H, 2015 World Alliance Forum, 2015/11/13, 国外.
114. Modeling psychiatric/neurological disorders using ips cell technologies and transgenic non-human primates, 口頭, Okano H, The 29th Mammalian Genome Conference, IMGS 2015, 2015/11/11, 国外.
115. Modeling psychiatric/neurological disorders using ips cell technologies and transgenic non-human primates, 口頭, Okano H, Cell Symposia: Human Genomics, 2015/11/9, 国外.
116. Dementia: Solutions for a ‘super-aging’ society, 口頭, Okano H, Cognitive Decline and Its Economic Consequences 国際会議「認知症社会における経済的挑戦と機会」, 2015/10/5, 国外.
117. Regenerative Medicine and Disease Modeling with iPS cells technologies, 口頭, Okano H, 11th Annual Meeting of Korean Society for Stem Cell Research “Presidential Session -Today's Stem Cell Research in Asia”, 2015/8/28, 国外.
118. Modeling Human Neurological Diseases using iPS cells and Transgenic Non-Human Primates, 口頭, Okano H, CHA Bio Complex Seminar, 2015/8/27, 国外.

119. Modeling Human Neurological/Psychiatric Disorders using iPS cells and Transgenic Non-Human Primates, 口頭, Okano H, Breakthroughs in Molecular Genetics in Model Organisms Symposium, 2015/8/22, 国外.
120. Neuronal damage and regenerative medicine, 口頭, Okano H, Center for Animal Disease Model International Symposium (CADMIS) 2015 – Frontiers of Immunology and Neurobiology- (東京理科大学ヒト疾患モデル研究センター国際シンポジウム), 2015/7/21, 国外.
121. Modeling neurological and psychiatric disorders using iPSCs technologies and transgenic non-human primates, 口頭, Okano H, The ISSCR Annual Meeting 2015, 2015/6/25, 国外.
122. Brain Science and Modeling Neurological Diseases using Transgenic and Genome Editing Technologies, 口頭, Okano H, Dr. Austin Smith Lab Seminar, 2015/4/22, 国外.
123. 認知症・神経変性疾患の先制医療, 口頭, 岡野栄之, ジェロサイエンスイニシアティブ第1回学術講演会, 2015/12/19, 国内.
124. 神経難病に対する iPS 細胞を利用した創薬スクリーニング, 口頭, 岡野栄之, 平成 27 年度日本医療研究開発機構研究費 創薬基盤推進研究事業（研究委託事業）第 47 回ヒューマンサイエンス総合研究セミナー, 2015/12/18, 国内.
125. iPS 細胞と遺伝子改変篩選技術を用いた精神・神経疾患研究, 口頭, 岡野栄之, 第 33 回日本神経治療学会総会・シンポジウム, 2015/11/26, 国内.
126. 世界一やさしい iPS 細胞の授業, 口頭, 岡野栄之, 東京地方裁判所講演会, 2015/11/2, 国内.
127. iPS 細胞技術を用いた脊髄損傷の再生医療の開発, 口頭, 岡野栄之, 第 30 回日本整形外科学会基礎学術集会・特別講演, 2015/10/23, 国内.
128. iPS 細胞を用いた神経系の新しい医療, 口頭, 岡野栄之, iPS 細胞ビジネス協議会／第 17 回情報交換会, 2015/9/24, 国内.
129. iPS 細胞を用いた神経系の再生医療と病態研究, 口頭, 岡野栄之, 第 26 回日本末梢神経学会学術集会・教育講演, 2015/9/19, 国内.
130. iPS 細胞技術と遺伝子改変篩選類を用いた革新的な疾患・脳科学研究, 口頭, 岡野栄之, 第 55 回生命科学夏の学校（生化学若い研究者の会）, 2015/8/30, 国内.
131. iPS 細胞技術を用いた ALS の病態解析と創薬研究, 口頭, 岡野栄之, 第 6 回 ALS フォーラム, 2015/8/29, 国内.
132. iPS 細胞と遺伝子改変篩選類を用いた疾患研究, 口頭, 岡野栄之, 第 39 回阿蘇シンポジウム, 2015/7/31, 国内.
133. Regenerative Medicine and Diseases Modeling using iPS cell technologies, 口頭, 岡野栄之, 第 21 回日本遺伝子治療学会学術集会・日本神経科学学会との共催シンポジウム, 2015/7/26, 国内.
134. iPS 細胞技術の医療への応用, 口頭, 岡野栄之, 埼玉医科大学卒後教育委員会主催学術集会・特別講演, 2015/7/24, 国内.
135. iPS 細胞技術と遺伝子改変篩選類を用いた再生医学とヒト疾患研究, 口頭, 岡野栄之, 第 36 回日本炎症・再生医学会・特別講演, 2015/7/21, 国内.
136. Modeling of Human Neurological/Psychiatric Disorders using iPS technology and Transgenic Non-Human Primates, 口頭, 岡野栄之, 第 42 回東京大学医科学研究所創立記念シンポジウム

「Towards the next generation of regenerative medicine (次世代につながる再生医療)」 ,  
2015/6/2, 国内.

- 137.iPS 細胞と遺伝子改変壊長類を用いた神経疾患病態解明と創薬研究, 口頭, 岡野栄之, 第 79 回  
日本生化学会中部支部例会・シンポジウム, 2015/5/23, 国内.
- 138.iPS 細胞技術を用いた中枢神経系および内耳の再生医学と疾患研究, 口頭, 岡野栄之, 第 116 回  
日本耳鼻咽喉科学会総会・学術講演会, 2015/5/21, 国内.
- 139.iPS 細胞技術を用いた未来の医療, 口頭, 岡野栄之, 日本神経学会第 12 回生涯教育セミナー「レ  
クチャー」, 2015/5/20, 国内.
- 140.iPS 細胞を用いた中枢神経系の再生医療と病態研究, 口頭, 岡野栄之, 第 29 回日本医学会総会  
2015 関西シンポジウム, 2015/4/11, 国内.
- 141.遺伝性神経疾患からの TDP-43 病理の意義, 口頭, 小野寺 理, 第 56 回日本神経学会学術大会,  
2015/5/21, 国内.
- 142.Overexpression of intrinsic TDP-43 by disruption of the autoregulation *in vivo*, ポスター,  
Sugai A, Kato T, Nishizawa M, Onodera O, EMBO | EMBL Symposia Mechanisms of  
Neurodegeneration, 2015/6/14-17, 国外.
- 143(ALS はどこまで解明されたか、どこまで治療可能となったか, 口頭, 郭 伸, 第 19 回新潟神経  
内科シンポジウム（ホテルディアモント新潟）, 2015/12/12, 国内.
- 144(ALS 運動ニューロン死の機序の解明 : 酸化ストレスからのアプローチ, 口頭, 伊井真広、加藤信  
介, 第 455 回鳥取大学医学部中枢神経懇話会, 2015/3/23, 国内.
- 145.非プリン型キサンチン脱水素酵素 (XOR) 阻害剤で治療された ALS マウスの病理組織像の検討,  
ポスター, 加藤雅子、加藤信介、西野武士、草野輝男、林一彦、桑本聰史、村上一郎、瀧川みき,  
第 104 回日本病理学会総会, 2015/4/30-5/2, 国内.
- 146.非プリン型キサンチン酸化還元酵素 (XOR) 阻害剤の筋萎縮性側索硬化症(ALS)発症後投与にお  
ける有効性と病態解明についての解析, 口頭, 加藤信介、瀧川みき、伊井真広、小浜博司、加藤  
雅子、草野輝男、西野武士, 第 56 回日本神経病理学会, 2015/6/3-5, 国内.
- 147(ALS モデル動物の肝細胞の病理形態回復過程に HGF・c-met 機構の早期発現が寄与する, ポス  
ター, 加藤雅子、加藤信介、船越 洋、林 一彦、瀧川みき、伊井真広, 第 56 回日本神経病理学  
会, 2015/6/3-5, 国内.
- 148.酸化ストレスは孤発性筋萎縮性側索硬化症の脊髄前角細胞死に関与している, ポスター, 伊井  
真広、小浜博司、瀧川みき、加藤雅子、斎藤義朗、藤原範子、伊井邦雄、加藤信介, 第 56 回日  
本神経病理学会, 2015/6/3-5, 国内.
- 149.孤発性 ALS に認められたコピー数多型と臨床所見との関連についての検討, ポスター, 佐藤秀  
則、小山信吾、荒若茂樹、和田学、川並透、豊島至、祖父江元、加藤丈夫, 第 56 回日本神経学  
会（新潟）, 2015/5/23, 国内.
- 150.筋萎縮性側索硬化症におけるオプチニューリンの役割, 川上秀史, 第 56 回日本神経学会学術大  
会, 2015/5/22, 国内.
- 151.次世代シーケンサを用いた筋萎縮性側索硬化症の原因遺伝子スクリーニング, 森野 豊之, 松田  
由喜子, 和泉唯信, 丸山博文, 川上秀史, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/22, 国内.
- 152.FUS の質的機能喪失による ALS/FTLD の病態機構, 口頭, Ishigaki S, Sobue G, 第 56 回神経  
学会学術大会シンポジウム, 2015/5/22, 国内.

- 153.Loss of FUS affects adult neurogenesis by modulating Tau isoforms, 口頭, 石垣診祐、藤岡祐介、本田大祐、横井 聰、岡田洋平、岡戸晴生、渡辺宏久、勝野雅央、祖父江元, 第 56 回神経学会学術大会, 2015/5/20-23, 国内.
- 154.Loss of FUS causes a decrease in brain volume accompanied with neuronal loss, 口頭, 藤岡祐介、石垣診祐、横井 聰、本田大祐、宇田川剛、岡戸晴生、渡辺宏久、勝野雅央、祖父江元, 第 56 回神経学会学術大会, 2015/5/20-23, 国内.
- 155.Involvement of caudate nucleus head connectivities in ALS, 口頭, 渡辺宏久、榎田道人、千田譲、Bagarinao Epifanio、田中康博、陸 雄一、中村良一、渡辺はづき、伊藤瑞規、石垣診祐、熱田直樹、勝野雅央、長縄慎二、祖父江元, 第 56 回神経学会学術大会, 2015/5/20-23, 国内.
- 156.Suppression of FUS induces the morphologic abnormalities of dendritic spines, ポスター, 横井 聰、石垣診祐、宇田川剛、本田大祐、藤岡祐介、勝野雅央、祖父江元, 第 56 回神経学会学術大会, 2015/5/20-23, 国内.
- 157.FUS regulates AMPA receptor function and FTLD-associated behavior, ポスター, 本田大祐、宇田川剛、藤岡祐介、田中基樹、永井 拓、山田清文、横井 聰、石垣診祐、渡辺宏久、勝野雅央、大野欽司、曾我部正博、岡戸晴生、祖父江元, 第 56 回神経学会学術大会, 2015/5/20-23, 国内.
- 158.Aberrant adult neurogenesis in FUS-knockdown mice which exhibited FTLD-like phenotypes, 口頭, Ishigaki S, Fujioka Y, Honda D, Yokoi S, Okado H, Watanabe H, Katsuno M, Sobue G. 第 38 回日本神経科学大会, 2015/7/28-30, 国内.
- 159.The loss of FUS leads to brain atrophy accompanied with neuronal loss, 口頭, Fujioka Y, Ishigaki S, Yokoi S, Honda D, Udagawa T, Okado H, Watanabe H, Katsuno M, Sobue G, 第 38 回日本神経科学大会, 2015/7/28-30, 国内.
- 160.FUS knockdown causes the morphologic abnormalities of dendritic spines, ポスター, Yokoi S, Ishigaki S, Honda D, Fujioka Y, Udagawa T, Katsuno M, Sobue G, 第 38 回日本神経科学大会, 2015/7/28-30, 国内.
- 161.FUS regulates AMPA receptor function and FTLD/ALS-associated behavior via GluA1 mRNA stabilization, ポスター, Honda D, Udagawa T, Fujioka Y, Tanaka M, Yokoi S, Nagai T, Yamada K, Ishigaki S, Watanabe H, Katsuno M, Ohno K, Sokabe M, Okado H, Sobue G, 第 38 回日本神経科学大会, 2015/7/28-30, 国内.
- 162.FUS の機能喪失は Tau isoform 依存的に adult neurogenesis 抑制を引き起こす, ポスター, 石垣診祐、藤岡祐介、本田大祐、横井 聰、渡辺宏久、勝野雅央、祖父江元, 第 34 回日本認知症学会学術集会, 2015/10/2-4, 国内.
- 163.FUS の発現抑制は dendritic spine の形態異常を引き起こす, ポスター, 横井聰、石垣診祐、本田大祐、藤岡祐介、宇田川剛、勝野雅央、祖父江元, 第 34 回日本認知症学会学術集会, 2015/10/2, 国内.
- 164.ALS/FTLD の病態における FUS の役割, 口頭, 石垣診祐、祖父江元, 第 15 回日本蛋白質科学年会ワークショップ, 2015/6/26, 国内.
- 165.FTLD-like phenotypes accompanied with aberrant adult neurogenesis are regulated by altered Tau isoforms in FUS-silenced mice, ポスター, Ishigaki S, Fujioka Y, Honda D, Yokoi S, Okado H, Watanabe H, Katsuno M, Sobue G, The 10th brain research conference, 2015/10/15-16, 国外.

- 166.Loss of FUS causes a decrease in brain volume accompanied with neuronal loss, ポスター, Fujioka Y, Ishigaki S, Yokoi S, Honda D, Udagawa T, Okado H, Yoshikawa M, Takashima A, Watanabe H, Katsuno M, Sobue G. The 10th brain research conference, 2015/10/15-16, 国外.
- 167.Quality loss of FUS and SFPQ alters the ratio of Tau isoforms, which recapitulates FTLD accompanied with aberrant adult neurogenesis, 口頭, Ishigaki S, Fujioka Y, Honda D, Yokoi S, Okado H, Watanabe H, Katsuno M, Sobue G, The 45th Society for Neuroscience annual meeting, 2015/10/17-21, 国外.
- 168.Loss of FUS causes a decrease in brain volume accompanied with neuronal loss, ポスター, Fujioka Y, Ishigaki S, Yokoi S, Honda D, Udagawa T, Okado H, Yoshikawa M, Takashima A, Watanabe H, Katsuno M, Sobue G, The 45th Society for Neuroscience annual meeting, 2015/10/17-21, 国外.
- 169.Library screening to identify compounds that promote MNs generation from iPSCs, ポスター, 後藤和也ら, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/21, 国内.
- 170.Clinicopathologic study of autopsied familial ALS cases with optineurin mutation, 口頭, 綾木孝ら, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/21, 国内.
- 171.Microarray analysis in Motor Neuron-Specific 26S Proteasome Conditional KO mice, ポスター, 星野友則ら, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/21, 国内.
- 172.Gene Expression Profiling of Motor Neuron in Motor Neuron-Specific 26S Proteasome Conditional Knockout Mice, ポスター, 星野友則ら, 第 38 回日本神経科学学会, 2015/7/28, 国内.
- 173.Mutations in the PFN1 gene induce degenerative changes through aggregation of both mutant PFN1 and TDP-43, ポスター, Tanaka Y, Nonaka T, Suzuki G, Kametani F, Hasegawa M, SFN2015 (Chicago), 2015/10/19, 国外.
- 174.Pathomechanisms and therapeutic directions common to motor neuron diseases, 口頭, 山中宏二, 第 56 回日本神経学会学術大会シンポジウム（新潟）, 2015/5/21, 国内.
- 175.Astrocyte-derived TGF- $\beta$ 1 accelerates disease progression in ALS mice, ポスター, 遠藤史人、小峯 起、金 世杰、山中宏二, 第 56 回日本神経学会学術大会（新潟）, 2015/5/21, 国内.
- 176(ALS マウスの疾患進行におけるアストロサイト由来 TGF- $\beta$ 1 の役割, 口頭, 遠藤史人、小峯 起、金 世杰、勝野雅央、祖父江元、山中宏二, 第 38 回日本神経科学大会（神戸）, 2015/7/28-30, 国内.
- 177(ALS モデルマウスにおける自然免疫 TRIF 経路の役割, ポスター, 小峯 起、山下博史、藤森典子、森脇康博、三澤日出巳、山中宏二, 第 38 回日本神経科学大会（神戸）, 2015/7/28-30, 国内.
- 178(運動ニューロン特異的 26S プロテアソームノックアウトマウスを用いた運動ニューロンの網羅的遺伝子発現解析, ポスター, 星野友則、山下博史、田代善崇、三澤日出巳、小峯 起、山中宏二, 第 38 回日本神経科学大会（神戸）, 2015/7/28-30, 国内.
- 179(運動ニューロンのサブタイプ選択的脆弱性におけるオステオポンチンとマトリックスマタロプロテアーゼ-9 の役割, 口頭, 森崎祐太、坪田充司、森脇康博、山中宏二、三澤日出巳, 第 38 回日本神経科学大会（神戸）, 2015/7/28-30, 国内.
- 180(グリア細胞からみた筋萎縮性側索硬化症の病態解明, 口頭（招待講演）, 山中宏二, 宮城神経変性疾患研究会（仙台）, 2015/7/1, 国内.

- 181.The role of astrocyte-derived TGF- $\beta$  in motor neuron disease, 口頭（シンポジウム）, Yamanaka K, International Society for Neurochemistry Biennial Meeting (Cairns, Australia), 2015/8/23-27, 国外.
- 182.グリア細胞からみた神経変性メカニズム, 口頭（招待講演）, 山中宏二, 千里ライフサイエンスセミナー（大阪）, 2015/7/8, 国内.
- 183.Astrocyte-derived TGF- $\beta$ 1 accelerates disease progression in ALS mice by regulating the neuroprotective inflammatory response of microglia and T cells, ポスター, 山中宏二、遠藤史人、小峯 起、金 世杰、渡邊征爾, 第 58 回日本神経化学会大会（大宮）, 2015/9/11-13, 国内.
- 184.グリア細胞からみた運動神経変性機序, 口頭（シンポジウム）, 山中宏二, 第 34 回日本認知症学会学術集会（青森）, 2015/10/2-4, 国内.
- 185.The active role of glial cells in motor neuron disease, 口頭（招待講演）, 山中宏二, The 10th Annual GEO-PD (Genetic Epidemiology of Parkinson's Disease), 2015/10/1-2, 国内.
- 186.Active roles of glial cells in motor neuron disease, 口頭（招待講演）, 山中宏二, 第 20 回グリア研究会（名古屋）, 2015/12/5, 国内.
- 187.Calcium deregulation at mitochondria-associated membrane is important for motor neuronal degeneration in amyotrophic lateral sclerosis, ポスター, Watanabe S, Yamanaka K, BMB2015 (第 38 回日本分子生物学会年会、第 88 回日本生化学会大会合同大会) (神戸) , 2015/12/1-4, 国内.
- 188.Astrocyte-derived TGF- $\beta$ 1 accelerates disease progression in ALS mice by interfering with neuroprotective functions of microglia and T cells, ポスター, Endo F, Komine O, Jin S, Watanabe S, Katsuno M, Sobue G, Wyss-Coray T, Yamanaka K, 26th International Symposium on ALS / MND (Orlando, USA), 2015/12/11-13, 国外.
- 189.Mahogunin ring finger 1 confers cytoprotection against mutant SOD1 and is defective in ALS mice, ポスター, Chhangani D, Endo F, Amanullah A, Upadhyay A, Watanabe S, Mishra R, Mishra A, Yamanaka K, 26th International Symposium on ALS / MND (Orlando, USA), 2015/12/11-13, 国外.
- 190.DNA/RNA heteroduplex oligonucleotide for highly efficient gene silencing, 口頭, Yokota T, 2015 International Chemical Congress of Pacific Basin Societies, 2015/12/15, 国外.
- 191.新規核酸医薬、ヘテロ核酸の創生, 口頭, 横田隆徳, 第 22 回 JBIC バイオ関連基盤技術研究会, 2015/12/11, 国内.
- 192.DNA/RNA Heteroduplexes as a Novel Oligonucleotide Therapeutic Strategy, 口頭, Yokota T, 日本核酸医薬学会第一回年会, 2015/12/2, 国内.
- 193.核酸医薬を用いた遺伝子治療の展望, 口頭, 横田隆徳, 第 33 回日本神経治療学会総会, 2015/11/28, 国内.
- 194.第 3 の核酸医薬の「ヘテロ二重鎖核酸」の開発, 口頭, 横田隆徳, 日本人類遺伝学会第 60 回大会, 2015/10/17, 国内.
- 195.RNA quality control における RNA chaperone の働きについて : SCA31 (UGGAA)n リピート発現ショウジョウバエの解析を通して見えてきたこと, 口頭, 石黒太郎, 横田隆徳ら, 第 13 回神経科学研究会, 2015/10/10, 国内.

- 196.DNA/RNA heteroduplex oligonucleotide for highly efficient gene silencing, 口頭, Yokota T, 第 21 回日本遺伝子治療学会学術集会, 2015/7/26, 国内.
- 197.ビタミン E をリガンドとして用いた新規核酸医薬の開発, 口頭, 横田隆徳, 第 18 回 Vitamin E Update Forum, 2015/8/28, 国内.
- 198.系統的運動ニューロン変性モデル脊髄における微小血管壁細胞増殖, ポスター, 割田 仁, 青木正志ら, 第 38 回日本神経科学大会, 2015/7.28-31, 国内.
- 199.Pericytogenesis in spinal cord microvasculature of a rat model of ALS, 口頭, 割田 仁, 青木正志ら, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/20-23, 国内.
- 200.The mouse *C9ORF72* ortholog is enriched in neurons known to degenerate in ALS/FTD, 口頭, 鈴木直輝, 青木正志ら, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/20-23, 国内.
- 201.Comprehensive targeted resequencing analysis in Japanese ALS patients, ポスター, 西山亜由美, 青木正志ら, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/20-23, 国内.
- 202.Chondroitin sulfate proteoglycan receptors in an ALS rat model, ポスター, 四條友望, 青木正志ら, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/20-23, 国内.
- 203.Genotype-phenotype correlation with *FUS/TLS*-linked familial ALS cases in Japan, 口頭, 秋山徹也, 青木正志ら, 第 56 回日本神経学会学術大会, 2015/5/20-23, 国内.

### (3) 「国民との科学・技術対話社会」に対する取り組み

1. Development of specific therapy for sporadic ALS, 郭 伸, 3rd World Centenarian Initiative 「ALS 病治療戦略国際シンポジウム—より良い QOL と予後を目指した新規治療法の開発—」先端医療振興財団 ALS 国際シンポジウム(Osaka), 2016/2/19, 国内.
2. グリア細胞を標的とした ALS の治療法開発と分子病態解明, 山中宏二, ALS 治療研究最前線 2016 IBC グラント研究報告会（日本 ALS 協会主催）, 2016/11/6, 国内.
3. “難病の ALS 「アイスバケツチャレンジ」 寄付で治療法の研究進む”（出演）, 山中宏二, NHK ニュース, 2016/11/6, 国内.
4. “ALS 発症の鍵 名大教授ら解明 治療法開発の手がかりに.”（記事掲載）, 山中宏二, 中日新聞朝刊, 2016/11/8, 国内.
5. “小胞体とミトコンドリア接触部の崩壊が神經難病 ALS の発症の鍵となる.”, 渡邊征爾, 山中宏二, 名古屋大学プレスリリース, 2016/11/8, 国内.
6. 夢を叶える新技術 – 東北大学病院の挑戦 –, 青木正志, 東北大学 108 周年ホームカミングデー（仙台）, 2015/10/31, 国内.
7. ALS の治療に向けた研究の最前線～治療方法の開発に向けて この 10 年間の変遷について～, 小野寺 理, 会津 ALS の会 秋の交流会, 2016/10/15, 国内.
8. iPS 細胞研究 10 年のあゆみ, 岡野栄之, Walk Again 2016, 2016/10/1 (秋葉原コンベンションホール、東京), 国内.
9. 脳の病気へ挑む—神經内科診療の最前線—, 青木正志, 河北新報社 健康の医学教室（仙台）, 2016/9/27, 国内.
10. iPS 細胞による中枢神經系の再生戦略, 岡野栄之, Walk Again 2015, 2015/9/5, 国内.
11. iPS 細胞等を用いた再生医療の最前線, 岡野栄之, H27 年度第 4 回都民講座, 2015/9/3, 国内.

12. iPS 細胞と遺伝子改変遺伝子改変技術を用いた未来の医療の開発, 岡野栄之, 第 58 回歯科基礎医学会・ロッテ基金特別講演（市民公開講座）（札幌コンベンションセンター、札幌）, 2016/8/25, 国内.
13. iPS 細胞技術を用いた未来医療, 岡野栄之, 野村バイオコンファレンス, 2015/8/6, 国内.
14. 再生医療と脳科学の最先端, 岡野栄之, 2016 東進大学学部研究会 (TKP ガーデンシティ品川、東京), 2016/8/5, 国内.
15. ALS の治療, 郭 伸, 第 13 回神経難病とケアを考える会, 2015/7/4, 国内.
16. iPS 細胞技術を用いた未来の医療, 岡野栄之, 野村證券・再生医療産業化セミナー～“細胞”が世界を救う？～, 2015/7/1, 国内.
17. 筋萎縮性側索硬化症の治療薬, 加藤信介, 第 3 回 ALS 協会鳥取県支部総会(米子市文化ホール), 2015/6/14, 国内.
18. 難病へ挑む－新規治療法開発の最前線－, 青木正志, 東北大学病院開設百周年記念市民公開講座（仙台）, 2015/6/7, 国内.
19. iPS 細胞技術を用いた未来の再生医療, 岡野栄之, 第 12 回東北大学病院市民公開講座記念講演, 2015/6/7, 国内.

#### (4) 特許出願

該当なし