

平成 28 年度 委託実験調査成果報告書

I. 基本情報

事業名 : (日本語) 創薬支援推進事業・創薬総合支援事業
(英語) Project Promoting Support for Drug Discovery “The iD3 Booster”

実験調査課題名 : (日本語) 筋萎縮症の新規治療法開発
(英語) Development of a new therapy for muscular dystrophy

実験調査担当者 (日本語) 堀 正敏 東京大学大学院農学生命科学研究科・准教授
所属 役職 氏名 : (英語) HORI, Masatoshi, Associate professor
Graduate School of Agriculture & Lice Sciences, The University of Tokyo

実施期間 : 平成 28 年 8 月 1 日 ~ 平成 29 年 3 月 31 日

分担実験 (日本語) 筋萎縮症の新規治療法開発
調査課題名 : (英語) Development of a new therapy for muscular dystrophy

実験調査分担者 (日本語) 山内 啓太郎 東京大学大学院農学生命科学研究科・准教授
所属 役職 氏名 : (英語) YAMANOUCHI, Keitaro, Associate professor
Graduate School of Agriculture & Lice Sciences, The University of Tokyo

II. 成果の概要

- ・マウス骨格筋より FACS cell sorting を用いたマウス筋衛星細胞分取法を樹立した。具体的には、マウス大腿筋をコラゲナーゼにて処理し、CD31 陽性血管内皮細胞と CD45 陽性血球系細胞をそれぞれ排除し、最後に Sca-1 陰性で間葉系前駆細胞を排除したうえで、細胞膜上抗原 X 陽性の筋衛星細胞を分取する系を樹立した。

- ・マウス筋衛星細胞とラット間葉系前駆細胞クローン 2G11 細胞について、分化前と分化後の総 RNA を精製し RNA sequence 解析を行った。バイオフィオマティクスによる解析を今後行う。

- ・デュシェンヌ型筋ジストロフィーラット(Duchenne muscular dystrophy model rat: DMD ラット)と遺伝子 Y 欠損ラット (遺伝子 Y-KO) を掛け合わせ遺伝子 Y-KO /DMD ラットを作出した。

- ・遺伝子 Y-KO /DMD ラットと DMD ラットを用いて、ジストロフィー症の病態発現解析の比較に着手した。

- ・ We established a procedure to purify stellate cells of mice skeletal muscle using FACS/cells sorting. In brief, CD31 and CD45 double-negative cells were selected from muscle of thigh to remove endothelial cells and leukocytes. Then cell surface antigen X positive Sca-1 negative cells were selected as isolated stellate cells.

- ・ RNA-sequence experiments were performed in stellate cells of skeletal muscle of mice and 2G11 cells, which are mesenchymal progenitor cells of rat skeletal muscle, with or without differentiation. Genetic analysis will be done in the months ahead.

- ・ We generated Duchenne muscular dystrophy model rat (DMD rat) and Gene Y KO rat by CRISPR/Cas9 system. Finally, we succeeded to generate Gene Y KO /DMD rat.

- ・ We started to compare pathological process between DMD rat and Gene Y KO /DMD rat.

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 0 件、国際誌 0 件)

(2) 学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表
なし

(3) 「国民との科学・技術対話社会」に対する取り組み
なし

(4) 特許出願
なし