

# ゲノム編集で筋力回復

## 米大チーム 筋ジストロフィーのマウス

筋力が徐々に衰える遺伝性の難病、筋ジストロフィーになったマウスで、遺伝子を自在に改変できるゲノム編集技術を使って遺伝子を修復し、筋力を回復させる治療に成功したと、米ワシントン大の研究チームが発表した。論文が英科学誌「ネイチャー・コミュニケーションズ」に掲載された。

筋ジストロフィーのうち、患者数が最も多い「デュシェンヌ型」と呼ばれるタイプは、遺伝子の異常によって筋肉の構造を支えるたんぱく質「ジストロフィン」が作れず筋肉が衰える。国内に推定約4000人の患者がいるとされるが、根本的な治療法は見つかっていない。

チームは、このタイプの筋ジストロフィーを発症したマウス12匹を使用。病気の原因となる遺伝子のみを狙って修復する酵素をマウスの体内に注入したところ、筋肉細胞の最大約7割でジストロフィンが作られ、約4か月間にわたって筋肉の機能が改善した。筋ジストロフィーのマウスの遺伝子を修復する研究はこれまでも行われていたが、筋力の回復はわずかだった。今回、筋肉細胞だけに作用する酵素を使ったことで効果が向上したという。

堀田秋津・京都大IPS細胞研究所特定拠点講師(幹細胞遺伝子工学)の話「体内に酵素を直接注入する手法は、人では安全性が確認されていないが、その課題がクリアできれば、筋ジストロフィー以外の難病にも応用できる可能性がある」

筋ジストロフィーの患者数が最も多い「デュシェンヌ型」と呼ばれるタイプは、遺伝子の異常によって筋肉の構造を支えるたんぱく質「ジストロフィン」が作れず筋肉が衰える。国内に推定約4000人の患者がいるとされるが、根本的な治療法は見つかっていない。

チームは、このタイプの筋ジストロフィーを発症したマウス12匹を使用。病気の原因となる遺伝子のみを