

令和元年度 第3回 神経研究所 所内セミナー

日時：令和元年10月31日（木）16：00～

場所：研究所3号館1階セミナー室

演者：中森 雅之 先生（大阪大学大学院医学系研究科 神経内科学）

演題：筋強直性ジストロフィーのトランスレーショナルリサーチと
治療開発の展望

内容紹介：

筋強直性ジストロフィーは成人で最も多い遺伝性筋疾患で、多彩な全身症状を呈します。その病態がCTG塩基繰り返し配列の異常伸長とそこから転写された異常RNAによるスプライシング調節障害であることが判明し、様々な治療研究が進められてきました。われわれも、低分子化合物や核酸医薬を用いた筋強直性ジストロフィーの治療開発やバイオマーカーの確立をおこなっており、このたびドラッグリポジショニングスクリーニングで見出したエリスロマイシンによる医師主導治験を行う運びとなっています。

今回は、われわれが取り組んできたトランスレーショナルリサーチと、異常伸長DNAを標的とした新たな治療戦略などをお話ししたいと思います。

担当・連絡先：荒木 敏之（疾病研究第五部：内線5151）