

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター (NCNP)

精神・神経疾患研究開発費

疾患モデルを駆使した 筋ジストロフィーの治療法開発

2024 年度 研究班会議プログラム

主任研究者: 青木 吉嗣

NCNP神経研究所遺伝子疾患治療研究部

日 時 2024 年 11 月 25 日 (月) 10:00～21:30

2024 年 11 月 26 日 (火) 9:00～13:25

会 場 NCNP 教育研修棟 1F ユニバーサルホール

〒187-8551 東京都小平市小川東町 4-1-1

TEL 042-341-2712(内線) 5222 or 2911

- ◆ 発表時間は討論時間を含みます。

第 1 日目 11 月 25 日（月）

開会の挨拶 10:00～10:05 主任研究者 青木吉嗣

Session I 10:05～10:47 座長 峰岸かつら
越後谷裕介

1. 筋指向性 siRNA によって筋強直性ジストロフィー1型の骨格筋および心筋の機能が改善する

○峰岸 かつら¹, 越後谷 裕介², 木村公一³, 本橋 紀夫¹, 青木 吉嗣¹

(¹国立精神・神経医療研究センター神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ²日本大学生物資源科学部 獣医学科 実験動物学研究室, ³東京大学医科学研究所 附属病院 検査部/循環器内科)

(発表時間 12 分)

2. 筋強直性ジストロフィー1型モデルマウス骨格筋の加齢病態の解析

○越後谷 裕介¹, 中森 雅之², 高橋 正紀³, 横田 俊文⁴, 青木 吉嗣⁵

(¹日本大学生物資源科学部 獣医学科 実験動物学研究室, ²山口大学大学院 医学系研究科 臨床神経学講座, ³大阪大学大学院 医学系研究科 臨床神経生理学, ⁴Department of Medical Genetics, Faculty of Medicine and Dentistry, University of Alberta, ⁵国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

(発表時間 12 分)

3. ヒト化 DMD エクソン8欠失マウスの作製およびマルチエクソンスキッピングの検討

○横田 俊文, ハリー・ウィルトンクラーク, 丸山 理香

(Department of Medical Genetics, Faculty of Medicine and Dentistry, University of Alberta)

(発表時間 12 分)

Session II 10:47～11:15 座長 林晋一郎

4. シングルセル核解析による筋ジストロフィーの病態解明

○林 晋一郎¹, フランシア ウィクトリア デ ロス レイエス¹, 加藤 美恵¹, 小川 恵¹, 深田 宗一朗², 久保 純², 野口 悟¹, 西野 一三¹

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第一部, ²大阪大学大学院 薬学研究科 再生適応学分野)

(発表時間 12 分)

5. 筋原線維変性の解析のためのサルコメア視覚化マウスの開発

○野口 悟¹, 小川 恵¹, 小比類巻 生², 井上 由紀子¹, 井上 高良¹, 福田 紀男²

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第一部, ²東京慈恵会医科大学 細胞生理学講座)

(発表時間 12 分)

11:15-11:25

休憩

Session III 特別講演 1

11:25~12:10

座長 青木吉嗣

6. ミトコンドリア先制医療

【特別講演】

○阿部 高明

(東北大学大学院 医学系研究科 病体液性制御学分野)

(発表時間 45 分)

12:10-13:00

班員会議

Session IV

13:00~14:10

座長 宮田完二郎

堀田秋津

7. エクソンスキッピングのためのアンチセンス核酸オリゴマーデータベースおよびスキップ効率予測

○千葉 峻太朗¹, 小湊 みのり², 邦武 克彦³, 青木 吉嗣³, 横田 俊文⁴, 奥野 恒史⁵

(¹理研 R-CCS HPC/AI 駆動型医薬プラットフォーム部門, ²京都大大学院医学研究科, ³国立精神・神経医療研究センター神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ⁴Department of Medical Genetics, Faculty of Medicine and Dentistry, University of Alberta, ⁵理研 R-CCS HPC/AI 駆動型医薬プラットフォーム部門, 京大医学部)

(発表時間 12 分)

8. DM1 および DMD 治療へ向けたニックベースの超高精度ゲノム編集法

○堀田 秋津¹, 小島 佑介¹, 坪倉 由美¹, 増田 芳恵¹, 井上 雄翔¹, 中田 慎一郎²

(¹京都大学 iPS 細胞研究所, ²京都府立医科大学大学院 医学研究科)

(発表時間 12 分)

9. 組織標的化に向けた高分子ナノ医薬の開発

○宮田 完二郎¹, 内藤 瑞¹, 峰岸 かつら², 青木 吉嗣²

(¹東京大学大学院工学系研究科 マテリアル工学専攻, ²国立精神・神経医療研究センター神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

(発表時間 12 分)

10. アンチセンス核酸医薬の筋デリバリー機構における新たな可能性

○本橋 紀夫, 芦田 雪, 峰岸 かつら, 青木 吉嗣

(国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

(発表時間 12 分)

11. 羊膜間葉系細胞を用いた DMD 細胞療法の骨格筋における作用機構

岡田 尚巳^{1,4}, ○笠原 優子^{1,4}, 倉岡 睦季², 木村 公一³, 峰岸 かつら⁴, 林 真広⁵, 中石 智之⁵, 上田 恭義⁵
青木 吉嗣⁴

(¹ 東京大学医科学研究所 遺伝子・細胞治療センター 分子遺伝医学, ² 日本獣医生命科学大学 応用生命科 動物
科学科 実験動物学, ³ 東京大学医科学研究所 附属病院 検査部/循環器内科, ⁴ 国立精神・神経医療研究センター
神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ⁵ 株式会社力ネカ 再生・細胞医療研究所)

(発表時間 12 分)

14:10-14:15 休憩

Session V 特別講演 2

14:10~14:55

座長 深田宗一朗

12. Dll4-Notch2 軸を標的にした筋脆弱症の予防治療法開発

【特別講演】

○小野 悠介

(熊本大学発生医学研究所 筋発生再生分野/ 東京都健康長寿医療センター研究所 筋老化制御研究室)

(発表時間 45 分)

15:00-15:05 休憩

Session VI

15:05~16:01

座長 藤本崇宏

村松里衣子

13. ジストロフィンアイソフォーム解析に基づいた DMD 脳病態解析

○間野 達雄, 橋本 唯史

(国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第四部)

(発表時間 12 分)

14. マウス胎児脳におけるジストロフィン短鎖産物 Dp71 の発現パターンと相互作用蛋白解析

○藤本 崇宏¹, 森 美幸¹, 外崎 圜¹, 矢追 肇¹, 中野 堅太², 岡 村匡史², 伊東 恭子¹

(¹ 京都府立医科大学大学院 医学研究科 分子病態病理学, ² 国立国際医療研究センター研究所 動物実験施設)

(発表時間 12 分)

15. 細胞内 pH 調節系の破綻による神経発達障害発症メカニズム

○若月 修二, 荒木 敏之

(国立精神・神経医療研究センター神経研究所 疾病研究第五部)

(発表時間 12 分)

16. Synaptotagmin 4 は脊髄損傷後の神経軸索の発芽を促進する

村松 里衣子, ○樋口 京香, 植田 眞子, 全 麗麗, 田辺 章悟

(国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 神経薬理研究部)

(発表時間 12 分)

16:01-16:10

休憩

Session VII 特別講演 3

16:10～16:55

座長 武田伸一

17. 私たちの炎症・免疫基礎研究に根ざした創薬開発研究

【特別講演】

○松島 綱治

(東京理科大学 生命医科学研究所 炎症・免疫難病制御部門)

(発表時間 45 分)

16:55-17:00

休憩

Session VIII

17:00～17:56

座長 出澤真里

櫻井英俊

18. Muse 細胞の最近のアップデート: 基礎研究から臨床研究へ

○出澤 真理

(東北大学大学院 医学系研究科 細胞組織学分野)

(発表時間 12 分)

19. 間葉系前駆細胞を標的とした新たな筋ジストロフィー治療法の開発

—間葉系前駆細胞の不均一性システムによる筋健全性維持メカニズム—

○上住 聰芳

(九州大学 生体防御医学研究所 細胞不均一性学分野)

(発表時間 12 分)

20. 生体内サテライト細胞の増殖を誘導する手法開発

○深田 宗一朗¹, 張 碓丹¹, 徐 嘉謙¹, 岩森 歌奈子¹, 久保 純¹, 上住 聰芳², 秋本 崇之³

(¹大阪大学大学院 薬学研究科, ²九州大学 生体防御医学研究所 細胞不均一性学分野, ³早稲田大学 スポーツ科学学術院 スポーツ科学部)

(発表時間 12 分)

21. マイクロ RNA スイッチシステムを用いた iPS 細胞由来骨格筋幹細胞の純化法の開発

○櫻井 英俊¹エドヴィナス・セルニヤウスカス¹, ミナス・ナルバンディアン¹、小野 紘貴²、齊藤 博英²

(¹京都大学 iPS 細胞研究所 臨床応用研究部門, ²京都大学 iPS 細胞研究所 未来生命科学開拓部門)

(発表時間 12 分)

17:56～18:05

休憩

Session IX 特別講演 4

18:05～18:50

座長 横田俊文

22. Myonuclear domain-associated and central nucleation-dependent spatial restriction of dystrophin protein expression in a novel DMD mouse model

【特別講演】

○Thomas C. Roberts

(University of Oxford)

(発表時間 45 分)

閉会の挨拶

18:50～18:55

主任研究者:青木 吉嗣

19:00～21:30 意見交換会

第 2 日目 11 月 26 日 (火)

開会の挨拶

9:00～9:05

主任研究者 青木吉嗣

Session X

9:05～10:09

座長 進藤英雄
川内大輔

23. ヒト尿由来細胞 Overview

青木 吉嗣, ○邦武 克彦, 大越 一輝, Chaitra Sathyaprakash, 住谷 瑛理子, 本橋 紀夫

(国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

(発表時間 8 分)

24. Patient UDC-iPSC cerebral organoids as a model for cognitive phenotypes in Duchenne Muscular Dystrophy

○Chaitra Sathyaprakash¹, 立堀 知奈¹, 邦武 克彦¹, 寺田 玲子¹, 間野 達雄², 川内 大輔³, 渡邊 桃子⁴, 池田 真理子⁵, 橋本 唯史², 坂口 秀哉⁶, 青木 吉嗣¹

(¹ 国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ² 国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第四部, ³ 名古屋市立大学医学研究科 腫瘍・神経生物学分野, ⁴ カリフォルニア大学アーバイン校, ⁵ 藤田医科大学病院, ⁶ 理化学研究所 生命機能科学研究センター)

(発表時間 12 分)

25. 福山型筋ジストロフィーの疾患モデルを用いた治療法開発研究

○池田(谷口) 真理子¹, 小柳 三千代², 森田 健太³, Chaitra Sathyaprakash⁴, 丸山 達生³, 櫻井 英俊⁵, 原田 陽一郎⁶, 芳本 玲⁷, 青井 貴之², 中川 真一⁸, 青木 吉嗣⁴

(¹ 藤田医科大学病院 臨床遺伝科, ² 神戸大学医学部 幹細胞医学, ³ 神戸大学工学部 応用化学, ⁴ 国立精神・神経医療研究センター 遺伝子治療部, ⁵ 京都大学 iPS 細胞研究所 臨床応用研究部門, ⁶ 大阪国際がんセンター 糖鎖オンコロジー部門, ⁷ 摂南大学農学部, ⁸ 北海道大学薬学部)

(発表時間 12 分)

26. デュシェンヌ型筋ジストロフィー検体のリン脂質分析

○進藤 英雄¹, 邦武 克彦², 橋立 智美¹, 青木 吉嗣²

(¹ 国立国際医療研究センター, ² 国立精神・神経医療研究センター 遺伝子治療部)

(発表時間 12 分)

27. がんと神経のコミュニケーションを介した新たながん進展機構の解明

○川内 大輔¹, 肖 知蹟^{1,2}, 上阪 直史²

(¹ 名古屋市立大学医学研究科 腫瘍・神経生物学分野, ² 東京科学大学 大学院医歯学総合研究科 認知神経生物学分野)

(発表時間 12 分)

10:09～10:15

休憩

Session XI 特別講演 5

10:15～11:00

座長 上住聰芳

28. 中枢神経系機能の再生を目指して～神経幹細胞移植から直接分化転換まで～ **【特別講演】**

○中島 欽一

(九州大学大学院 医学研究院)

(発表時間 45 分)

11:00～11:05

休憩

Session XII

11:05～12:01

座長 稲田全規

山田崇史

29. 糖鎖異常型筋ジストロフィーモデルマウスを用いた分子病態機構の解明と治療法開発

○金川 基

(愛媛大学大学院 医学系研究科)

(発表時間 12 分)

30. 地上加重力による筋形成に関わる遺伝子発現の網羅解析

○稻田 全規¹, 富成 司², 高戸谷 賢¹, 新井 大地^{1,2}, 青木 吉嗣²

(¹東京農工大学大学院 生命工学専攻, ²国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

(発表時間 12 分)

31. 等尺性運動によるジストロフィン欠損筋の持久性適応における収縮強度の役割

○山田 崇史¹, 山内 菜緒¹, 内藤 雷¹, 徳田 奈央¹, 芦田 雪², 本橋 紀夫², 青木 吉嗣²

(¹札幌医科大学 保健医療学部 理学療法学科, ²国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

(発表時間 12 分)

32. 日内変動する末梢血 miRNA のバイオマーカーとしての可能性

○土肥 栄祐¹, パルベス・ムハマンド・ソルワード・アラム^{1,2}, 河内 貴弘^{1,2}, 加野 真一^{1,2}, 佐々木 敦朗³, 田端 和仁⁴, 北村 真吾⁵

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第三部, ²アラバマ大学バーミンハム校, ³シンシナティ大学医学部/藤田医科大学病院臨床遺伝科, ⁴東京大学工学部, ⁵国立精神・神経医療研究センター 精神保健研究所 睡眠・覚醒研究部)

(発表時間 12 分)

12:01～12:10

休憩

Session XIII

12:10～12:52

座長 富成司

倉岡睦季

33. イヌ筋ジストロフィーモデル CXMD_Jにおける新規バイオマーカー開発に向けた検討 【招待講演】

○倉岡 睦季^{1,2}, 太田 能之³, 渡部 果林^{2,3}, 井上 琴望^{1,2}, 富山 仁⁴, 山本 俊昭⁵, 笠原 優子⁶, 武田 伸一⁷, 竹内 絵理², 今村 道博², 峰岸 かつら², 青木 吉嗣²

(¹日本獣医生命科学大学 応用生命科学部動物科学科 実験動物学教室, ²国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ³日本獣医生命科学大学 応用生命科学部動物科学科 動物生産化学教室, ⁴日本獣医生命科学大学 獣医学部獣医学科 比較細胞生物学研究室, ⁵日本獣医生命科学大学 獣医学部獣医保健看護学科 保全生物学研究分野, ⁶東京大学医科学研究所 遺伝子・細胞治療センター 分子遺伝医学分野, ⁷国立精神・神経医療研究センター 神経研究所)

(発表時間 12分)

34. 筋ジストロフィー犬を用いたジストロフィン欠損による自律神経病態の解析

○竹内 絵理¹, 西岡 朋生², 芦田 雪¹, 今村 道博¹, 菊水 健史³, 関口 正幸^{1,4}, 青木 吉嗣¹

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部, ²藤田医科大学 医科学研究センター 神経・腫瘍のシグナル解析プロジェクト研究部門, ³麻布大学 獣医学部、⁴東京理科大学 薬学部薬学科)

(発表時間 12分)

35. DMD 遺伝子編集マイクロミニピッギングに関する基礎情報調査

○大竹 正剛¹, 鈴木 駿¹, 梶原 一洋¹, 塩谷 聰子¹, 尾崎 絹代², 高橋 英機², 小野 悅郎², 今村 道博³, 青木 吉嗣³

(¹静岡県畜産技術研究所中小家畜研究センター, ²九州大学大学院 医学研究院基礎医学研究部門 実験動物学分野, ³国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

(発表時間 12分)

Session XIV

12:52～13:20

座長 本橋紀夫

36. 筋ジストロフィー関連動物の生産供給システムの検討

○保田 昌彦, 小倉 智幸, 水澤 卓馬, 川井 健司, 高橋 利一

(公益財団法人 実中研)

(発表時間 12分)

37. 筋ジストロフィー治療研究への患者・市民参画

○竹田 保¹, 中岡良司²

(¹一般社団法人 日本筋ジストロフィー協会, ²ホップ支援センター)

(発表時間 12分)

閉会の挨拶

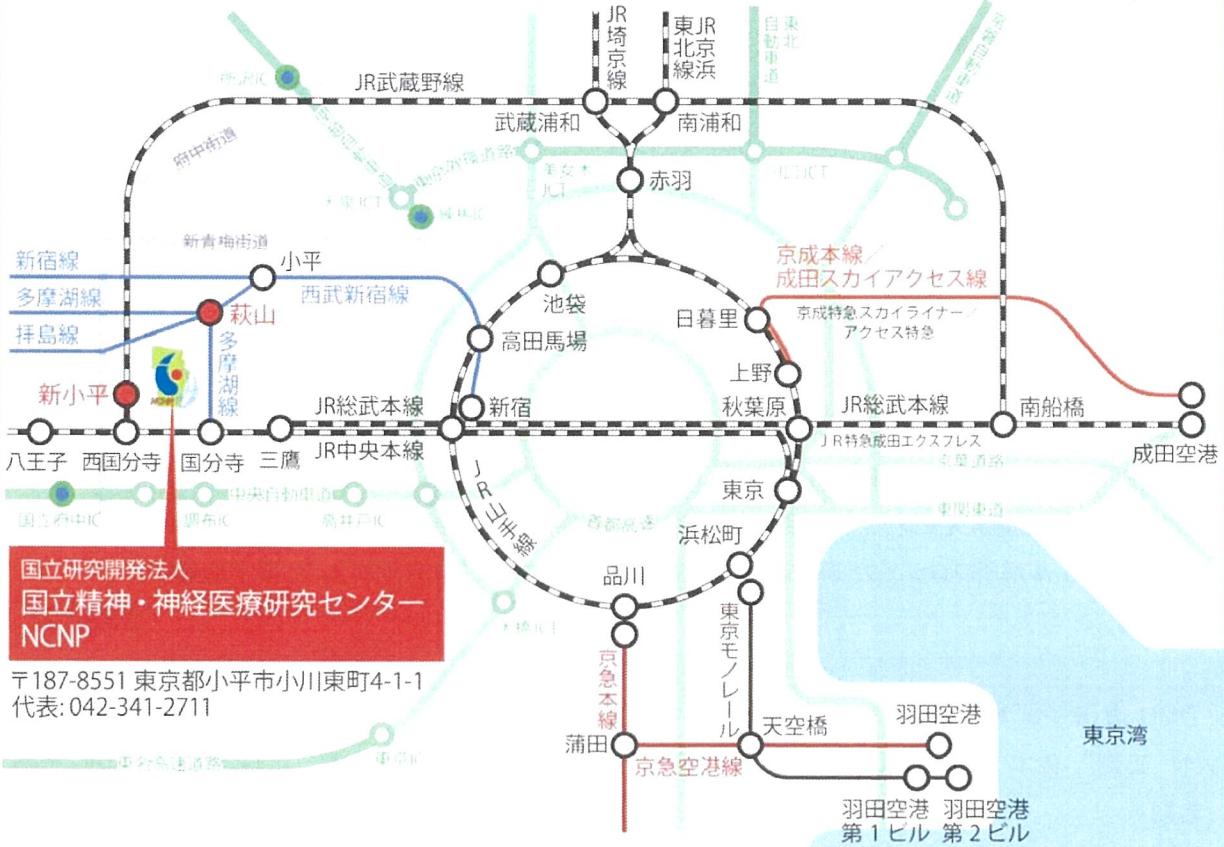
13:20～13:25

主任研究者 青木吉嗣

国立研究開発法人

国立精神・神経医療研究センター(NCNP)

＜広域地図＞



〒187-8551 東京都小平市小川東町4-1-1
代表:042-341-2711

新宿から

- 西武新宿線利用 〈約30分〉
西武新宿 → 高田馬場 → 小平 → 萩山
西武新宿線 300円
- JR中央線利用 〈約40分〉
新宿 → 国分寺 → 萩山
JR中央・青梅線 390円
- 東京モノレール空港快速利用 〈約1時間30分〉
羽田空港 → 東京モノレール空港快速 → 浜松町 → JR山手線外回り → 高田馬場 → 小平 → 萩山
東京モノレール空港快速 490円
JR山手線外回り 260円
西武新宿線 300円
- 京急空港線エアポート急行利用 〈約1時間30分〉
羽田空港 → 京急空港線エアポート急行 → 品川 → JR山手線外回り → 高田馬場 → 小平 → 萩山
京急空港線エアポート急行 410円
JR山手線外回り 200円
西武新宿線 300円
- JR特急成田エクスプレス利用 〈約2時間〉
成田空港 → J.R特急成田エクスプレス → 新宿 → JR山手線外回り → 高田馬場 → 小平 → 萩山
J.R特急成田エクスプレス 1,490円 + 特急料金1,700円 (通常期)
JR山手線外回り 300円
- 京成スカイライナー利用 〈約1時間30分〉
成田空港 → 京成特急スカイライナー → 日暮里 → JR山手線内回り → 高田馬場 → 小平 → 萩山
京成特急スカイライナー 1,240円 + 特急料金1,230円
JR山手線内回り 170円
西武新宿線 300円

羽田空港から

成田空港から

お車でお越しの方

関越自動車道 所沢 IC → 所沢 IC → 国道463号線 → 府中街道 → 一般道路 → NCNP

練馬 IC → 関越自動車道 → 練馬 IC → 富士街道 → 新青梅街道 → 一般道路 → NCNP

中央道 国立・府中 IC → 中央自動車道 → 国立・府中 IC → 甲州街道 → 府中街道 → 一般道路 → NCNP

*タクシー利用時の時間・料金はおおよその目安です。交通事情により変動いたしますので了承ください。*情報は平成27年4月現在

国立研究開発法人

国立精神・神経医療研究センター (NCNP)

<センター内地図>



駐車場料金

料金区分	30分まで	30分以後
一般の方	朝 間 (7:00~18:30) 無料	200円／1時間 (2時間迄は100円)
	夜 間 (18:30~7:00) 無料	300円／1時間
受診患者の方 *朝し、30分以後となった場合は 4倍計算料金に提示して下さい	無料	100円／当日の退場まで

〈地図上マークの説明〉

- 屋根付き通路
- 外来者駐車場
- 専用駐車場
- ▲ 職員駐車場
- 駐車料金精算機
- タクシー乗場
- シャトルバス停留所
- AED設置場所
- ポスト
- 公衆電話
- ▲ コンビニエンスストア
- ATM
- タリーズコーヒー

- 病院にお越しの方
- セミナールーム・ユニバーサルホールにお越しの方
- コスモホールにお越しの方

*情報は令和5年8月現在

