

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

2025 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	2025 年 11 月 26日 (水)	10:00～20:45
	2025 年 11 月 27日 (木)	9:00～12:05

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む
- ◆ 分担研究者氏名の前に「○」を付記

第 1 日目 11 月 26 日 (水)

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 宮田 完二郎

笠原 優子

1. 筋組織への核酸医薬・遺伝子医薬デリバリー

○宮田 完二郎, 山田 直生, アウリア ファドリナ, 谷脇 香

(東京大学大学院工学系研究科)

(発表時間 14 分)

2. 骨格筋へのアンチセンス核酸医薬デリバリー分子基盤

○本橋 紀夫, 芦田 雪, 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 14 分)

3. 筋ジストロフィー犬を用いた細胞治療評価に有用なバイオマーカーの探索

笠原 優子¹, ○岡田 尚巳¹, 倉岡 睦季², 松坂 恭成¹, 峰岸 かつら³, 林 真広⁴, 丸山 亮⁵, 中石 智之⁴, 諸島 忠⁵, 上田 恭義⁴, 青木 吉嗣³

(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 応用生命科学部 動物科学科 実験動物学教室, 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, ⁴ 株式会社 カネカ 再生・細胞医療研究所, ⁵ 株式会社カネカ Medical Solutions Vehicle)

(発表時間 14 分)

10:47-11:02

休憩

Session II

11:02~11:58

座 長 千葉 峻太郎

堀田 秋津

4. AI モデルによるエクソスキッピングアンチセンス核酸の活性予測ーゲノム基盤モデルに基づく解析

○千葉 峻太郎¹, 邦武 克彦², 青木 吉嗣², 横田 俊文³, 奥野 恭史⁴

(¹ 理研 R-CCS HPC/AI 駆動型医薬プラットフォーム部門, 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 アルバート大医学部, ⁴ 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 14 分)

5. 筋強直性ジストロフィー1 型モデルマウスの加齢病態と新規モデル開発

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 14 分)

6. 筋強直性ジストロフィー1 型における CTG リピート伸長のメカニズム

加門 正義¹, 外山 英和², 山下 萌¹, 中森 雅之², 森 まどか³, 小牧 宏文⁴, ○若月 修二¹, 荒木 敏之¹

(¹国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第五部, ²山口大学大学院 医学系研究科 臨床神経学, ³国立精神・神経医療研究センター病院 神経内科, ⁴国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナル・メディカルセンター)

(発表時間 14 分)

7. LNP 送達 CRISPR-Cas9 のオフターゲット安全性解析

○堀田 秋津¹, 直江 洋一¹, 藤本 直子¹, 犬飼 直人²

(¹京都大学 iPS 細胞研究所, ²武田薬品工業株式会社 (T-CiRA))

(発表時間 14 分)

11:58-13:00

班員会議

Session III

13:00~14:10

座 長 林 晋一郎
金川 基

8. 免疫シグナルと低酸素応答のクロストークによる筋萎縮機構

○林 晋一郎, 加藤 美恵, 野口 悟, 西野 一三

(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)

(発表時間 14 分)

9. SNUPN 遺伝子変異は小脳プルキンエ細胞の広範囲なスプライシング異常を来すことで脊髄小脳変性症を引き起こす。

大久保 真理子^{1,2}, 小川 恵¹, 江浦 信之¹, 井上 由紀子³, 出羽 健一⁴, 大輪 智雄⁵, 宮下 聡⁵, 村上 てるみ⁶, 中村 寿良¹, 林 晋一郎¹, 埜中 征哉¹, 尾方 克久⁶, 星野 幹雄⁵, 井上 高良³, 西野 一三¹, ○野口 悟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東京大学大学院 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 疾病研究第六部, ⁴理化学研究所 脳神経科学研究センター, ⁵国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 病態生化学研究部, ⁶国立病院機構 東埼玉病院)

(発表時間 14 分)

10. 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 14 分)

11. 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

(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 14 分)

12. DMD 三塩基欠失マウスの開発: 中枢神経病態における DMD 短鎖産物の役割解明に向けて

○藤本 崇宏¹, 大塚 哲², 永井 智美², 中野 堅太³, 岡村 匡史³, 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 京都府立医科大学大学院 実験動物センター,

³ 国立健康危機管理研究機構 国立国際医療研究センター 動物実験管理部)

(発表時間 14 分)

14:10-14:25

休憩

Session IV 特別講演

14:25~14:55

座 長 深田 宗一郎

13. ゲノム編集技術を用いた疾患モデル動物の開発とその応用

【特別講演】

真下 知士

(東京大学 医科学研究所 先進動物ゲノム研究分野)

(発表時間 30 分)

14:55-15:10

休憩

Session V

15:10~16:20

座 長 上住 聡芳
櫻井 英俊

14. 間葉系間質細胞の不均一性の意義解明

○上住 聡芳

(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 14 分)

15. 運動科学を基盤とした筋ジストロフィー治療開発

○深田 宗一郎¹, 張 礪丹¹, 前澤 なごむ¹, 上住 聡芳², 山田 崇史³, 秋本 崇之⁴

(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, ³ 広島大学大学院 医系研究科, ⁴ 早稲田大学 スポーツ科学学術院)

(発表時間 14 分)

16. 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・セルニャウスカス¹, 天野楓紀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 14 分)

17. 運動は強度依存的にジストロフィン欠損筋の損傷耐性を向上させる

○山田 崇史¹, 山内 菜緒², 新堀 礼佳², 内藤 雷², 徳田 奈央², 本橋 紀夫³, 青木 吉嗣³

(¹ 広島大学大学院 医系科学研究科, ² 札幌医科大学 保健医療学部 理学療法学科, 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)

(発表時間 14 分)

18. 臓器連関から見てきた新しいサルコペニアの発症機序

伊藤 尚基, 江口 貴大

(国立長寿医療研究センター)

(発表時間 14 分)

16:20-16:35

休憩

Session VI 特別講演

16:35~17:05

座 長 山田 崇史

19. Sirtuin を標的にした筋ジストロフィー治療

【特別講演】

久野 篤史

(札幌医科大学 医学部 薬理学講座)

(発表時間 30 分)

17:05~17:20

休憩

Session VII 特別講演

17:20~18:05

座 長 岩坪 威

20. リプログラミング技術を用いた神経疾患の病態解析と創薬研究

【特別講演】

岡野 栄之

(慶應義塾大学 再生医療リサーチセンター)

(発表時間 45 分)

閉会の挨拶

18:05~18:10

主任研究者: 青木 吉嗣

18:30~20:45 意見交換会

第 2 日目 11 月 27 日 (木)

Session VIII

9:00~9:56

座 長 横田 俊文
村松 里衣子

21. デュシェンヌ型筋ジストロフィー犬モデルにおける CRISPR/Cas9 を用いたマルチエクソンスキッピングの長期評価

○横田 俊文¹, 守山 英則¹, 丸山 理香¹, 峰岸 かつら², Harry Wilton-Clark¹, Kenji Rowel Q. Lim¹, Quynh Nguyen¹, Kara Goodkey¹, Rohini Roy Roshmi¹, Radha Maradiya¹, Stanley Woo¹, Aleksander Touznic¹, 芦田 雪², 山田 崇史³, 倉岡 睦季⁴, 木村 公一⁵, 今村 道博², 青木 吉嗣²

(¹アルバータ大学 医学・歯学部 医学遺伝科, 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, ³広島大学 大学院医系科学研究科, ⁴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, ⁵東京大学 医科学研究所)

(発表時間 14 分)

22. 末梢由来因子による中枢神経障害後の血管修復作用

植田 堯子¹, 山岸 浩^{1,2}, 全 麗麗¹, 三澤 日出巳^{1,2}, ○村松 里衣子

(¹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, ²慶應義塾大学 薬学部 薬学科 薬理学講座)

(発表時間 14 分)

23. 神経活動依存的がん増殖機構の解明

○川内 大輔, 上阪 直史

(名古屋市立大学 大学院医学研究科)

(発表時間 14 分)

24. バイオマーカー応用に向けた血中細胞外小胞の研究基盤開発

○土肥 栄祐¹, 佐々木 敦朗², 北村 真吾³, 長谷 武志⁴, 茂櫛 薫⁴, 建石 由佳⁵, 藤原 豊史⁶, 山本 泰智⁶

(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シンシナティ大学医学部, ³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, ⁴東京科学大学 医療・創薬イノベーション教育開発機構, ⁵JST 情報基盤事業部 NBDC 事業推進室, ⁶ROIS ライフサイエンス統合データベースセンター)

(発表時間 14 分)

9:56~10:10

休憩

Session IX 特別講演

10:10~10:40

座 長 川内 大輔

25. 脳オルガノイド接続による神経回路モデルの構築

【特別講演】

池内 与志穂

(東京大学 生産技術研究所)

(発表時間 30 分)

10:40～10:55

休憩

Session X

10:55～12:05

座 長 今村 道博
倉岡 睦季

26. デュシェンヌ型筋ジストロフィーマイクロミニピッグモデルにおける自然歴研究

今村 道博¹, 青木 吉嗣¹, 佐藤 逸美¹, 芦田 雪¹, 木村 公一², 大竹 正剛³

(¹ 国立精神・神経医療研究センター 遺伝子疾患治療研部, ² 東京大学医科学研究所, ³ 静岡県畜産技術研究所中小家畜研究センター) (発表時間 14 分)

27. イヌ筋ジストロフィーモデルの病態進行期における起き直り運動の加速度・角速度アウトカム評価

倉岡 睦季^{1,2}, 三瓶 康汰^{1,2}, 井上 琴望^{1,2}, 渡部 果林^{2,3}, 立森 久照⁴, 笠原 優子⁵, 今村 道博², 峰岸 かつら², 富成 司², 太田 能之³, 武田 伸一⁶, 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 慶應義塾大学医学部 医療政策・管理学教室, ⁵ 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, ⁶ 国立精神・神経医療研究センター 神経研究所) (発表時間 14 分)

28. DMD 遺伝子編集マイクロミニピッ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 聡子¹, 尾崎 絹代², 高橋 英機², 小野 悦郎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 14 分)

29. 筋ジストロフィー関連モデル動物の生産供給システムの検討

沼野 琢旬, ○保田 昌彦, 小倉 智幸, 水澤 卓馬, 高橋 利一

(公益財団法人 実中研)

(発表時間 14 分)

30. 筋ジストロフィー治療研究への患者・市民参画

○竹田 保

(一般社団法人 日本筋ジストロフィー協会)

(発表時間 14 分)

閉会の挨拶

12:05～12:10

主任研究者: 青木 吉嗣

第1回尿由来幹細胞研究会

開会の挨拶

13:10～13:15

代表世話人:青木 吉嗣

特別講演

13:15～13:45

座 長 本橋 紀夫

1. hUDCsを用いたオミックス解析による希少疾患の診断

【特別講演】

才津 浩智, 宮本 祥子

(浜松医科大学 医化学講座)

(発表時間 30 分)

13:45～13:55

休憩

Session I

13:55～14:51

座 長 稲田 全規

尿由来幹細胞の多分野への応用可能性

遠藤 ゆかり

2. 未分化幹細胞を用いた骨形成促進基材の開発

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

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

(発表時間 14 分)

3. サルコペニア研究における尿由来細胞の可能性

細山 徹¹, 邦武 克彦², 江口 貴大³, 高石 美菜子¹, 伊藤 尚基³, 竹村 真里枝⁴, 青木 吉嗣²

(¹国立長寿医療研究センター 運動器疾患研究部, ²国立精神・神経医療研究センター 遺伝子疾患治療研究部, ³国立長寿医療研究センター 中枢性老化-骨格筋代謝-運動機能制御研究 PT, ⁴国立長寿医療研究センター ロコモフ レイルセンター)

(発表時間 14 分)

4. ヒト尿由来細胞を用いたCa²⁺放出ユニット機能評価

遠藤 ゆかり^{1,2}, 呉林 なごみ², 村山 尚²

(¹順天堂大学 スポーツ健康医科学研究所, ²医学部薬理学講座)

(発表時間 14 分)

5. 患者尿由来幹細胞を用いたEPG5関連Vici症候群の分子病態解析

宮本 祥子¹, 福村 忍², 小松 和幸¹, 才津 浩智¹

(¹浜松医科大学 医化学講座, ²札幌医科大学 小児科)

(発表時間 14 分)

14:51～15:00

休憩

6. 福山型先天性筋ジストロフィー患者由来尿中細胞におけるジストログリカン発現パターンの検討(仮)高橋 朗子¹, 邦武 克彦², 藤野 悟央¹, 小林 千浩³, 金川 基⁴, 青木 吉嗣², 戸田 達史^{1,5}

(¹ 東京大学大学院 医学系研究科 神経内科学, 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 神戸大学大学院 医学研究科 分子脳科学, ⁴ 愛媛大学大学院 医学系研究科, ⁵ 国立精神・神経医療研究センター病院)

(発表時間 7 分)

7. Brain-specific dystrophin isoforms have a function in radial glia during human cerebral organoid developmentChaitra Sathyaprakash¹, Katsuhiko Kunitake¹, China Tatebori¹, Reiko Terada¹, Tatsuo Mano², Tadafumi Hashimoto², Daisuke Kawauchi³, Toshiyuki Araki⁴, Momoko Watanabe⁵, Mariko Taniguchi-Ikeda⁶, Hideya Sakaguchi⁷, Yoshitsugu Aoki¹

(¹Department of Molecular Therapy, National Center of Neurology and Psychiatry, Kodaira, Japan, ²Department of Degenerative Neurological Diseases, National Institute of Neuroscience, National Center of Neurology and Psychiatry, Kodaira, Japan, ³Department of Neuro-Oncology, Institute of Brain Science, Nagoya City University Graduate School of Medical Sciences, Nagoya, Japan, ⁴Department of Neurophysiology, National Institute of Neuroscience, National Center of Neurology and Psychiatry, Kodaira, Japan, ⁵Department of Anatomy & Neurobiology, Sue & Bill Gross Stem Cell Research Center, School of Medicine, University of California, Irvine, Irvine, CA, USA, ⁶Department of Pediatrics, Kochi Medical School, Kochi University, Kochi, Japan, ⁷Division of Experimental Pharmacology, Department of Pharmacology, National Center for Child Health and Development, Setagaya, Tokyo)

(発表時間 14 分)

8. 福山型筋ジストロフィーに対する疾患モデルを用いた治療法開発研究

○池田 真理子

(高知大学医学部 小児思春期医学講座)

(発表時間 14 分)

9. デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者尿由来細胞のリピドミクス○進藤 英雄¹, 邦武 克彦², 橋立 智美¹, 青木 吉嗣²(¹ 国立健康危機管理研究機構, 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 14 分)

Session III

15:59～16:55

座 長 邦武 克彦

尿由来幹細胞の神経・グリアへの直接誘導

松田 泰斗

10. 尿由来細胞から神経細胞へのダイレクトリプログラミングの誘導

松田 泰斗¹, 松田 花菜江¹, 中島 欽一²

(¹ 奈良先端科学技術大学院大学, ² 九州大学)

(発表時間 14 分)

11. 尿由来細胞からオリゴデンドロサイトへの分化誘導法の確立

田辺 章悟¹, 邦武 克彦², 本橋紀夫², 青木吉嗣², 村松里衣子¹

(¹ 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, 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 14 分)

12. 尿由来細胞を用いた直接誘導神経の作出と、神経変性疾患のモデリング

前田 純宏

(慶應義塾大学医学部 生理学教室)

(発表時間 14 分)

13. ヒト尿由来細胞のアストロサイトへのダイレクト・リプログラミング

邦武 克彦, 本橋 紀夫, 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 14 分)

閉会の挨拶

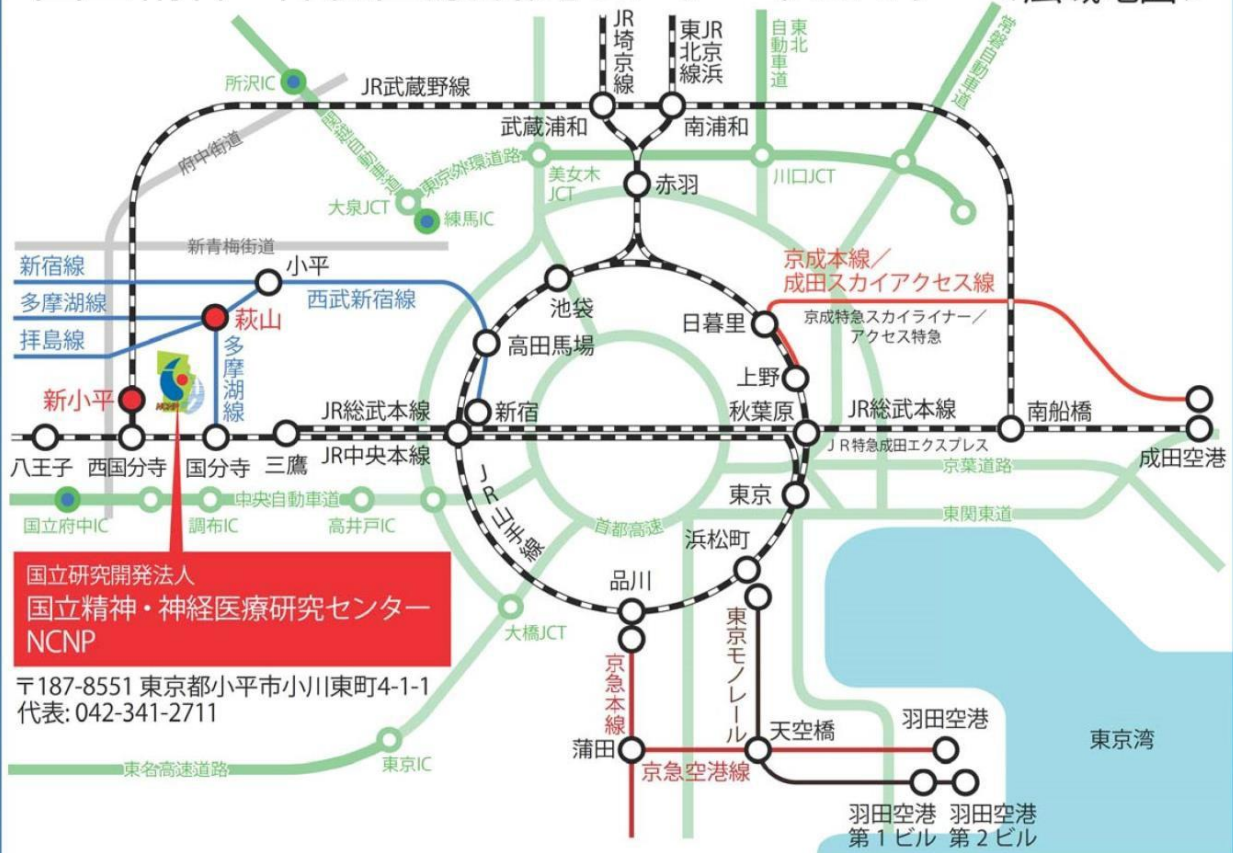
16:55～17:00

代表世話人: 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 >



国立研究開発法人

国立精神・神経医療研究センター
NCNP

〒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

西武新宿線

300円

小平

多摩湖・
拝島線

萩山

* 小平からタクシー利用の場合約10分¥800程度

JR中央線利用 〈約40分〉

新宿

J R中央・青梅線

390円

国分寺

西武多摩湖線

180円

萩山

* 国分寺からタクシー利用の場合約20分¥1,800程度

羽田空港から

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

490円

浜松町

JR山手線外回り

260円

高田馬場

西武新宿線

300円

小平

多摩湖・
拝島線

萩山

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

410円

品川

JR山手線外回り

200円

高田馬場

西武新宿線

300円

小平

多摩湖・
拝島線

萩山

成田空港から

J R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

1,490円+特急料金1,700円(通常期)

新宿

JR山手線外回り

高田馬場

西武新宿線

300円

小平

多摩湖・
拝島線

萩山

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

1,240円+特急料金1,230円

日暮里

JR山手線内回り

170円

高田馬場

西武新宿線

300円

小平

多摩湖・
拝島線

萩山

お車でお越しの方

関越自動車道 所沢 IC

関越自動車道

所沢 IC

国道463号線

東新井町

府中街道

八坂

一般道路

NCNP

練馬 IC

関越自動車道

練馬 IC

富士街道

富士町

新青梅街道

滝山南

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

府中3

小平六小

一般道路

NCNP

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

国立精神・神経医療研究センター (NCNP)

[illegible]

料金区分		30分まで	30分以降
一般の方	昼間 (7:00～18:30)	無料	200円/時間 (2時間超は100円)
	夜間 (18:30～7:00)	無料	300円/1時間
受診患者の方 ＊但し、30分以降となった場合は ◎会計受付窓口に提示して下さい		無料	100円/当日の退場まで

- 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
- 駐輪場
- 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