

『自転車等機械振興事業完了のお知らせ』



この度、令和元年度公益財団法人 JKA の自転車等機械振興事業の補助金を受けて、下記の事業を完了いたしました。

記

事業名 2019 年度医療機器の振興に資する事業（医療機器の整備）

事業内容 **難病研究の医療機器整備**

研究機器名

1. 「DNA/RNA 分析用マイクロチップ電気泳動装置」

ゲノムの変異箇所の編集・修復の検証や条件検討、オフターゲットの評価には数多くの PCR や Surveyor assay と呼ばれるヘテロ二本鎖の切断を行い、アガロース電気泳動を行う必要がある。本研究機器は、これらのアガロース電気泳動を置き換えることができる。Surveyor assay では切断された DNA 断片と、未切断 DNA 断片のモル比を、本研究機器を用いることで正確に評価することが可能である。さらに、本研究機器では精密に電気泳動度を測定することができるため、Surveyor assay を置き換えるヘテロ二本鎖移動度分析も可能である。

本研究で開発予定の造血幹細胞のゲノム編集治療法は、X-SCID 以外に下記の疾患治療に対して適用可能である。

各種 SCID、Bloom 症候群、Wiscott-Aldrich 症候群、Fanconi 貧血、サラセミア、鎌状赤血球貧血症、慢性肉芽腫症、白質ジストロフィー。

また、将来的には造血幹細胞のみならず幅広い遺伝性疾患の治療法につながる可能性を持つ。



2. 「ウイルスベクター精製システム」

本研究では、難治性疾患の治癒を目指した革新的な遺伝子治療法の開発を目指す。革新的な遺伝子治療技術の開発によって、患者の生命予後だけでなく、生活の質（QOL）の改善を目指す。血友病や肝臓代謝性疾患は遺伝性の疾患であるため、疾患の治癒が可能になれば、患者の家族、特に遺伝子を持つが発症していない保因者の精神的な負担をも解決しうる。

本研究機器を利用して新たなウイルスベクターの精製ステップを確立することで、難治性疾患の新たな治療法を開発する。



補助金額 9,740 千円

実施場所 地域社会健康科学研究所 栃木県下野市薬師寺 3311-1

完了年月日 令和元年 11 月 27 日

研究報告は、2021 年 1 月頃に「地域社会健康科学研究所研究報告集」としてとりまとめ、国、都道府県、全国自治体病院協議会などの関係機関に対し配布する予定です。

また、単年度における研究活動のみならず、昭和 48 年度以降に競輪の公益資金の補助を受けて整備することができた研究機器を広範囲の研究に総合的・効率的に使用することにより、なお一層の研究成果が期待されます。ここに公益財団法人 JKA に深く謝意を表す次第です。

公益財団法人 地域社会振興財団