



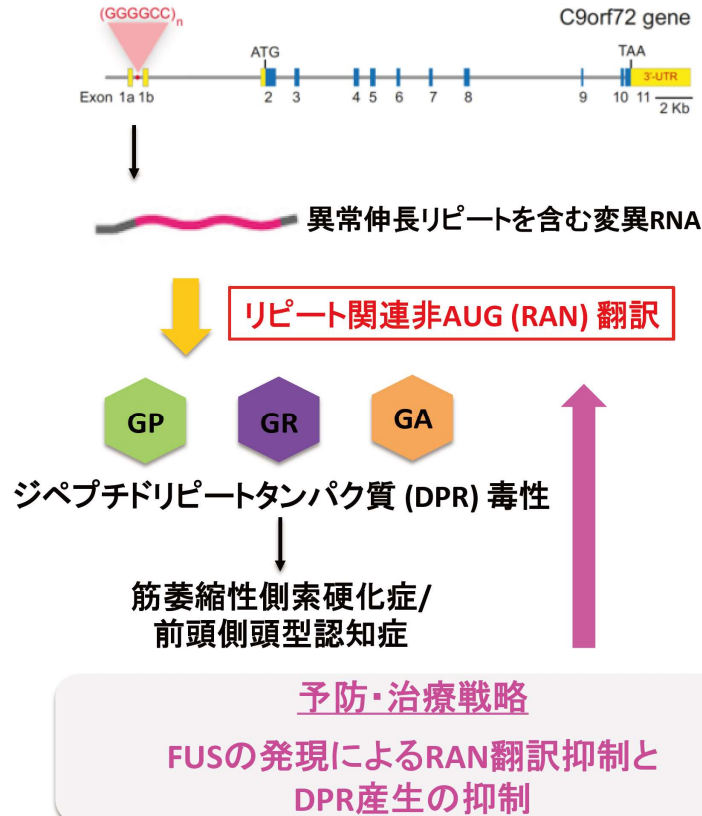
筋萎縮性側索硬化症および前頭側頭型認知症の予防・治療薬候補

キーワード

筋萎縮性側索硬化症、前頭側頭型認知症、C9orf72、治療薬

【研究内容の概要】

リピート配列の異常伸長変異を原因とする筋萎縮性側索硬化症および前頭側頭型認知症における神経変性はリピートRNAに結合するFUSタンパク質によって抑制される。



特徴/効果

- ・ C9orf72遺伝子内のGGGGCCリピート配列の異常伸長変異を原因とする筋萎縮性側索硬化症/前頭側頭型認知症において、FUSは異常伸長リピートを含む変異RNAからのリピート関連非AUG(RAN)翻訳を抑制する。その結果、産生されるジペプチドリピータンパク質(DPR)が減少し、神経変性が抑制される。
- ・ 病態発症メカニズムに基づいた予防・治療法開発につながる。

利用/用途

- ・ C9orf72遺伝子内のリピート配列の異常伸長変異を原因とする筋萎縮性側索硬化症/前頭側頭型認知症の予防法・治療薬開発
- ・ 遺伝子内のリピート配列の異常伸長変異を原因とする他のリピート病(筋強直性ジストロフィー、一部の脊髄小脳変性症、脆弱X関連振戦・失調症候群など)の予防法・治療法開発

知的財産権等情報

医学部 脳神経内科

永井 義隆

特許出願

特願2017-096111

論文等

編

URL

<https://www.med.kindai.ac.jp/laboratory/neurology/>

連絡先：近畿大学 リエゾンセンター(KLC)

〒577-8502 大阪府東大阪市小若江3-4-1
TEL : 06-4307-3099 FAX : 06-6721-2356

E-mail : klc@kindai.ac.jp

URL : <http://www.kindai.ac.jp/liaison/>