医療講演会

# iPS細胞研究の最前線

筋肉難病等の治療法開発への道



開催日時

平成25年6月30日(日) 13:00~15:30

開催場所

九州工業大学 記念講堂 北九州市戸畑区仙水町1-1

主催

先天性ミオパチー(筋疾患)の会

後 援

北九州市· 50億年 北九州商工会議所·九州工業大学京都大学iPS細胞研究所(CiRA)

# 医療講演会式次第

◆開 会 式 13:00~13:15

司会 FM KITAQパーソナリティー 橋本 佳寿子

(1) 開会の挨拶

先天性ミオパチー(筋疾患)の会 代表 伊藤亮

(2) 来 賓 紹介

◆講 演

13:15~14:45

「iPS細胞研究の最前線 ―筋肉難病等の治療法開発への道」

> 京都大学 iPS細胞研究所 臨床応用研究部門 特定拠点講師 櫻井 英俊 先生

●質疑応答

14:45~15:30

◆閉 会 式 15:30~15:35

閉会の挨拶



# 主催者あいさつ 少の



私たち先天性ミオパチー(筋疾患)の会は、生まれながらにして筋肉細胞に何らかの異常が あるために発育や発達の遅れや歩行障害などのある筋肉難病「先天性ミオパチー」の患者とそ の家族、および支援者の会で、筋肉難病に対する社会的な認知度の向上と医療体制の改善を 目指して活動を行っています。症例が少なく認知度も低い疾患なので、医師側の情報も不足し ており、適切な治療も受けられていない患者が多くいると思われます。患者とその家族には、 正しい情報を届けることで希望と勇気をもって生活してもらいたいと、先天性ミオパチー(筋 疾患)の会を一年前に立ち上げ、活動をしてきました。

昨年のノーベル賞受賞で一躍有名になったiPS細胞で筋肉を作り出し、筋肉異常のある部分 を補うことができるようになることを望んでいます。また、病気の進行を遅らせる新薬開発に も大いに期待しています。先天性ミオパチーなどの筋肉難病である患者にとって希望と期待

が持てる研究です。今年2月に京都大学で櫻井先生とお会いしたときに、先 生から研究について分かりやすくご説明いただきました。お話の中で、まず は新薬開発はそんなに年数がかからないことを聞きました。このような夢 のある話を多くの方に聞いていただきたいと思い、このたび櫻井先生に講 演をお願いいたしました。

> 先天性ミオパチー(筋疾患)の会 代表 伊藤亮



# 英俊先生

#### 京都大学」iPS細胞研究所。臨床応用研究部門。特定拠点講師



1973年 岐阜県生まれ

名古屋大学医学部医学科卒業後、 1998年

名古屋掖済会病院 腎臟内科医員

名古屋大学大学院医学系研究科博士課程 2001年

神戸理化学研究所・発生再生科学総合研究センター・幹細胞にて学外研究。

ES細胞からの沿軸中胚葉分化を研究する。

名古屋大学大学院医学系研究科 分子細胞免疫学講座 リサーチレジデント 2005年

沿軸中胚葉前駆細胞が、骨格筋の再生に関わるかどうかを研究する。

京都大学 物質-細胞統合システム拠点 iPS細胞研究センター 研究員として 2008年

京都大学再生医科学研究所・再生増殖制御学分野(瀬原研究室)にて研究 2009年

京都大学 物質-細胞統合システム拠点 iPS細胞研究センター 講師

現職。京都大学 i PS細胞研究所にて、 i PS細胞技術を活用し、 2010年

難治性筋疾患に対する新規治療法を開発すべく研究に従事。



#### であいさつ



本日は私の講演会にお越しいただきありがとうございます。本会では新たな医療技術になる と期待されているiPS細胞について、これまでの背景と現在我々が取り組んでいる筋肉難病治 療法開発を目指した最新研究の話題をお伝えしたいと思います。筋肉難病のほとんどは遺伝子 疾患であり、治療法が確立されていない病気が大多数を占めます。これまでの研究は、主にモデ ルマウスを活用した動物実験が主体でしたが、マウスには効く薬が出来ても、ヒトには効果が無 いという事象が繰り返されてきました。しかしiPS細胞の登場で、研究の環境は大きく変わりつ つあります。今後は患者さんに成り代わって、そのiPS細胞が研究材料として活用されるように なり、本当にヒトで効果のある治療法が開発できるのではないかと期待されています。本日は、 研究現場でしか知ることのできない最新の情報を、なるべく分かりやすくお伝えしたいと思い ます。

講演は2部構成で行います。第1部は「iPS細胞って何だ?」という部分に焦点をあて、その成 り立ちについて話します。第2部では我々の研究室でどんな研究がなされているのか?を中心 に紹介したいと思います。

> 京都大学iPS細胞研究所(CiRA)臨床応用研究部門 講師 櫻井 英俊

# 講演要旨

京都大学 iPS細胞研究所 臨床応用研究部門 特定拠点講師

#### 



### 「iPS細胞研究の最前線―筋肉難病の治療法開発への道」

#### 第1部 iPS細胞の成り立ち

よく耳にする「iPS細胞」という言葉ですが、どんな細胞なのでしょうか?直訳すれば「人工多能性幹細胞」ですが、「新型 万能細胞」と言ったほうがしっくりくるでしょう。 あらゆる組織・臓器になれる万能細胞が、 誰からでも作れるという点が画期的なのです。

もともと万能細胞には「ES細胞」がありました。これは受精卵から作成するため倫理的な問題があり、また誰からでも作れるわけではないので、仮に移植して治療しようとしても拒絶反応が起こってしまいうまくいきません。

2000年頃から世界中の科学者が、どうにかしてES細胞に代わる新しい万能細胞を作ろうと懸命に研究していました。特に体の細胞の核を卵子の細胞に入れるという「クローン技術」はマウスで成功していたこともあり期待されていました。同じころ京都大学の山中伸弥教授(現CiRA所長)は別の方法で万能細胞を作ろうと研究を進めていました。それはES細胞にだけ発現している遺伝子を体の細胞に入れることで、同じような細胞ができるのではないか、という方法です。当時研究員の高橋和利博士(現CiRA講師)の努力により2006年マウスiPS細胞が、2007年にはヒトiPS細胞が誕生しました。

ではiPS細胞には何ができるのでしょうか? たとえば再生医療の移植細胞になります。 心臓移植でしか助かる方法のない病気の 患者さんには、患者さんの細胞から心臓の 筋肉の細胞を作り出し、移植してあげること で治療します。また他には、病気の原因解 明の道具になります。原因がわかっていな い神経の病気の患者さんのiPS細胞から 神経の細胞を作り出し、その病気の神経細 胞と健常な方のiPS細胞からの神経とを 比較することで、原因となる遺伝子やタン パク質が解明されるでしょう。さらには創薬 にも応用できます。先ほどの病気の患者さ んのiPS細胞を使って原因が分かれば、そ の部分を抑える作用のある薬剤を振りかけ ることで、どの薬に治療効果があるかを試 験できます。人体実験を行わなくても、iPS 細胞が代わりに実験に参加してくれるとい うわけです。しかし、そんなiPS細胞にも全く 欠点が無いわけではありません。マウス iPS細胞から生まれたマウスは、ある確率 で腫瘍が発生することが分かっています。 今後はそういった欠点を無くしていくことも重 要な研究テーマです。

#### 第2部 筋肉難病治療法の開発に向けて

我々が進めているiPS細胞を使った筋肉難病に対する臨床応用研究の具体例をいくつか挙げてゆきたいと思います。

まず病態解明・創薬研究では、三好型 ミオパチー患者さん由来のiPS細胞を用 いて、その病態を再現することに成功しました。 病態が再現できれば、原因がはっきりとわ からなくても治療効果のある化学物質を探 すことが可能になると考えられています。こ の結果を受けて、現在は治療薬をスクリー ニングする方法を開発しています。また、日 本科学技術振興財団からの委託事業で ある「疾患特異的iPS細胞を活用した難病 研究 事業において骨格筋分野を担当し ていまして、いくつかの筋肉難病について 患者由来iPS細胞を活用し、創薬を目指し た共同研究を進めています。その対象疾 患以外にも、特に先天性ミオパチーと呼 ばれる希少疾患群の中には、原因の遺伝 子は明らかになっているものの、なぜ筋肉 が弱ってしまうのか病態が分からない疾患 が多く存在します。これらの疾患についても 病態解明に向け、患者さん由来のiPS細 胞が樹立されています。

次に細胞移植での筋肉難病治療研究では、筋肉の幹細胞(筋サテライト細胞)を使った移植治療法が筋ジストロフィーマウスに対して有効であることが2005年に示されています。しかし人間の体からこの筋サテライト細胞をたくさん取ってくることは不可能です。そこで我々は、iPS細胞から筋サテライト細胞と同じ能力を持った細胞を作り出すことを研究しています。これはなかなか難しく、世界でもまだ完全に成功したと言え

る報告はありません。現在どんな考え方で 研究しているかを紹介したいと思います。ま たiPS細胞の利点には、自分の細胞を移 植できることによって、拒絶反応の心配が 無いというものもあります。しかしながら遺伝 性疾患の患者さんのiPS細胞は、やはり 遺伝性疾患を持っているので治療には使 えません。そこで、拒絶反応をなるべく起こさ ない型を持ったiPS細胞をストックしておく「再 生医療用iPS細胞ストック事業 | が本年 度より開始されました。一方で欠点である腫 瘍化を減らそうとする研究も進んでいます。 最初に確立された方法では、遺伝子導入 にウイルスを使うためiPS細胞の遺伝子に 傷がついてしまい、これが後々腫瘍化に影 響するのではないかと考えられています。そ こで遺伝子に傷をつけないでiPS細胞を 作成する方法がいくつか改良されてきました。

以上さまざまな研究を紹介しましたが、これら以外にも様々な国でいろいろな研究がなされています。iPS細胞がもたらした治療の可能性は計り知れません。もちろん研究の全てがうまくいく訳ではないでしょうが、だからと言って治療研究をやめるのではなく、何か治す方法がないか日々考えながら一歩一歩研究を進めて行くことが我々の使命だと考えています。



「あきらめたらだめだ!早期根治可能な患者に!」

# 先天性ミオパチー(筋疾患)の会

- 一、先天性ミオパチーの理解と社会的認知度の普及啓発
- 一、地域格差のない公平な医療体制、医療制度の充実
- 一、更なる研究の促進と治療への道が1日も早く開けるように

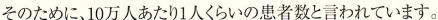
## 【 先天性ミオパチーとは? 】

ミオパチーとは、筋ジストロフィー等を含む筋肉の 病気の総称です。

症状は筋肉低下により歩行が困難になります。

また、その低下が原因で心臓や呼吸に影響が出るため早期の発見、呼吸ケアが重要です。

先天性ミオパチーには重症型があり、早期に亡く なる方がいます。



今まで治療法がないと言われていた遺伝性の筋疾患にもどんどん治療が試される時代 に入ってきました。

しかし、今だに完治が困難で防ぐことのできない病気です。

#### 沿革

2012年5月	● 発足(308プロジェクト始動)
7月	● 第一回 署名活動
8月	● 厚生労働部会・難病対策PT合同会議に参加 要望書と署名30,800筆を届ける
9月	● 創立記念講演会 無料医療相談と医師講演を開催
2013年2月	● 厚生労働副大臣と面会 要望書と意見を届ける ************************************
6月	● 医療講演会 iPS細胞研究の最前線
9月	● 勉強会 無料医療相談と医師講演を開催(予定)



#### 【寄付金のお願い】

〜ゆうちょ銀行から振込みされる場合〜 ゆうちょ銀行(普)

名義:センテンセイミオパチー(キンシッカン)ノカ·

~他金融機関から振込みされる場合~ ゆうちょ銀行(普)

ロ座番号: 7957204 店名: 748店

今すぐ、クリック!

ミオパチー 308

検索

◆308(ミオパチー)万人の署名を国に届けます◆

<お問い合わせ先一署名用紙送り先>

〒808-0101 北九州市若松区西天神町7-13

電話: (093) 791-9274 FAX: (093) 230-6252 E-mail: sentensei308@yahoo.co.jp

http://muscle-net20.jimdo.com/



難病患者を必

# なた

#### 先天性ミオパチー(筋疾患)の会

# 3087°E

#### 社会への発信、啓発活動



先天性ミオパチーの難病指定及び研究対象疾患への認定を求めて、308(ミオパチー)万筆の署名を集めています。 啓発活動などを通して先天性ミオパチーを多くの人に知ってもらうことにつながります。



# 勉強会



年1~2回ほど勉強会を開催しております。勉強会では、

筋疾患に携わっている様々な分野の医師に講演をしていただいたり、講演前には無料医療相談を行っております。



# 提言・要望活動



国や地方自治体などに対して、署名活動で集まった署

名簿を届けています。また、 先天性ミオパチーの研究が より促進され、治療可能な 疾患になることを願ってい ることを伝えます。



# 【協力団体】

#### NPO法人

# DADM\* 遠位型ミオパチー患者会

Patients Association for Distal Myopathies 🕏

- ★希少疾病の新薬開発のモデルケースとなるために

  署名活動(用紙・オンライン署名)と、活動資金へのご協力をお願い致します。

NPO法人 PADM(パダム)遠位型ミオパチー患者会 事務局

〒146-0085 東京都大田区久が原3-26-16

Web: http://www.enigata.com/e-mail: dmio-info@enigata.com

Tel: 070-6465-8748 Fax: 050-6860-5921



#### ミネラルダイニング

# アジュール|

食材は勿論、お水から調理方法にこだわってお客 様の健康を考えて、楽しく、美味しくお食事をして 頂けるお店です。

お弁当・ケイタリングも大好評です!

北九州市小倉北区片野2丁目15番12号 TEL:093-921-0141

# ⑥株式会社 ケンピ

〒804-0064 北九州市戸畑区沖台1丁目3-8 TEL093(882)9404 FAX093(882)4466 http://www.kenb.co.jp

#### 業務種目

ビルメンテナンス業務 イベント業務 宝くじ販売 リフォーム

スズキ自動車 ダイハツ工業 新車・中古車 販売店 自動車リース

立会車検・鈑金 東京海上日動火災保険代理店

#### ヤハタ自販株式会社

藤 安 隆 幸 代表取締役

北九州市八幡西区幸神 3 丁目 11 番 49 号 TEL 093-631-1104 他 FAX 093-631-1305 Eメール yahata-j@poppy.ocn.ne.jp ホームページ http://yahatajihan.com/

ロータスクラブ"

豊かな環境を次の世代に… Corporation Recycle Tech

# リサイクルテック

#### ■本社(ご連絡先)

福岡県北九州市八幡西区黒崎三丁目9番24号 ニッセイ新黒崎ビル5F T806-0021 TEL093-643-2777 FAX093-643-2061

福岡県北九州市若松区響町1丁目62-13 T808-0021 TEL093-752-5322 FAX093-752-5323

「くすりのお問合せは、 何でも相談ください」

# (有)まさき薬局 緑ケ丘店

北九州市小倉北区緑ヶ丘1丁目1-23 TEL 093-581-8851 FAX 093-571-8427

# (有)戸根タクシー

T800-0217 北九州市小倉南区下曽根3-4-24 TEL 093-471-8410 FAX 093-471-7005



#### 総合建設業

株式 若建エンジニアリング

代表取締役 砂 武 PHS 0 7 0 - 5 8 1 0 - 5 2 6 1

> 〒808-0012 北九州市若松区深町1丁目20-3 TEL 093-771-1339 FAX 093-701-5025 E-mail spvf5fs9@woody.ocn.ne.jp



# 特定非営利活動法人 空き缶基金

みんなで取組む空き缶回収

〒804-8501

北九州市戸畑区飛幡町1番1号 新日鐵住金株式会社 八幡製鉄所内 TEL 093-872-2580 FAX 093-872-6286 http://www.npo-ubckikin.org

# ⑩ 株式会社 宇喜多工業

建造物解体・産業廃棄物中間処分などを行ってます。 解体の依頼があれば福岡県内や近隣の県、 どこへでも親切・丁寧をモットーに対応してます。

〒822-0031 福岡県直方市大字植木2188-1 TEL 0949-23-0150 FAX 0949-23-0151

# 一般貨物運送事業 有限会社 大瀬運送

〒801-0803 門司区大字田野浦1034-8 TEL 093-332-0881 FAX 093-332-0880



防犯・防災・防護に関する事なら 何でもご相談ください。

(本社) 〒803-0801 北九州市小倉北区西港町94番6号 TEL 093-562-1111 (筑豊オフィス) 〒820-0002 飯塚市川島788-1 TEL 0948-26-1010 (大分支店) 〒879-5502 大分県由布市狭間町向原町428-3 TEL 097-586-3009



金本 善立

有限会社 百済 2093-321-2691 m0120-829-017

〒801-0856 北九州市門司区浜町9-15

機械据付・移設・組込・解体工事、配管工事、 製缶工事、足場工事、保温工事、溶接工事の事なら



# 株式会社 正 真

末永くお付き合いできる企業を目指し、 「迅速・確実・誠実」な仕事を心がけております。

〒807-0821 北九州市八幡西区陣原1丁目1番68号 TEL 093-641-3456 FAX 093-641-2256 http://www.syoushin.co.jp



# 株式会社 北九州地域開発

地域の発展と共に歩み、明日への扉をひらく

〒800-0221 小倉南区下曽根新町10-1 TEL 093-474-1400 FAX 093-475-8660 http://www.k-kaihatsu.jp



魚町コンタクト。

「瞳の健康」それが私たちの願いです。

〒802-0006 北九州市小倉北区魚町1-1-1 ヤマハビル7F 魚 町 眼 科 TEL 093-511-2266 FAX 093-511-2283 魚町コンタクト TEL 0120-226686

# 北九州市の整骨院グループ



〒804-0093 福岡県北九州市戸畑区沢見2-6-9 TEL: 093-871-1181



#### 沖台通整整骨院

〒804-0064 福岡県北九州市戸畑区沖台2-11-13 TEL: 093-861-1400



〒807-0805 福岡県北九州市八幡西区光貞台1-1-1 TEL: 093-602-0080



#### 八幡駅前整骨院

〒805-0061 北九州市八幡東区西本町3-2-1-1F TEL: 093-682-0455



〒803-0835 福岡県北九州市小倉北区井堀3-1-38 TEL: 093-592-5633



#### のりさだ整骨院 菅原院

〒804-0044 福岡県北九州市戸畑区菅原1-7-7 TEL: 093-883-3600



#### のいさだ整骨院 上建设院

〒807-0071 北九州市八幡西区上の原2丁目2-14 TEL: 093-611-2933



〒804-0093 福岡県北九州市小倉北区井堀3-2-1 TEL: 093-581-7688



〒808-0109 北九州市若松区南二島2丁目14番10号〒812-0025 福岡市博多区店屋町7-18 (博多渡辺ビル) ■本社・工場 ■福岡営業所

■博多営業所

TEL093-701-1527代)FAX093-791-5431 TEL092-281-2312(代) FAX092-291-5918 〒812-0011 福岡市博多区博多駅前1-5-1 (ヒューリック博多ビル12F) TEL092-481-0155代) FAX092-481-0277



# お知らせ

# 医療講演会& 個別医療相談

# 日にち

平成25年9月28日(土)

場所

旧大連航路上屋(北九州市門司区西海岸 1-3-5)

講師

# 埜中 征哉 先生

国立精神・神経医療研究センター病院名誉院長。

筋ジストロフィーやミオパチーなどの筋肉異常による筋肉難 病の第一人者です。ミオパチーについて判りやすくお話をし ていただきます。



# 石川 悠加 先生

国立病院機構八雲病院小児科医長。

人工呼吸療法を米国から日本医療界へ導入され呼吸不全治療 に新たな道を切り拓かれました。日頃より、筋肉疾患では早 期呼吸器ケアが重要であると力説されておられます。人工呼 吸器の必要性、呼吸器リハビリの大切さなどについてお話し いただきます。

詳細はこちらより近日公開



