

|       |  |          |
|-------|--|----------|
| 発明の名称 | GABAB受容体作動薬を用いた脊髄小脳変性症治療薬(特許第 6312462 号)   |          |
| 学内発明者 | 平井 宏和(医学系研究科)  |          |
| 技術分野  | 医薬品  | IP25-032 |
| 発明の概要 | 本発明は、脊髄小脳変性症で見られる運動失調を改善し、患者の生活レベルを向上させる治療薬を提供するものである。   |          |
| 説明図   | <p>低濃度バクロフェンの経口投与により、SCA1モデルマウスのロタロッド試験成績が回復することを示す。SCA1モデルマウスにバクロフェンを1回だけ経口投与した(黒線)。コントロール群(灰色線)。SLIP: マウスが最初に足を滑らせるまでの時間。FALL: マウスが回転棒から落下するまでの時間。</p>   |          |
| ポイント  | GABAB 受容体作動薬は、GABAB 受容体への結合により、グルタミン酸を介する mGluR1 受容体の活性化を増強し、脊髄小脳変性症において減弱、あるいは消失している mGluR1 の機能を回復させ、脊髄小脳変性症治療効果を発揮すると考えられる。本発明は、脊髄小脳変性症を効率よく治療でき、例えば、1回の投与により、脊髄小脳失調症 1 型の運動失調を 1~2 週間にわたって改善することができる。 |          |

|       |  |          |
|-------|--|----------|
| 発明の名称 | rab8a 遺伝子欠損マウス(特許第 4374438 号)  |          |
| 学内発明者 | 原田 彰宏(元生体調節研究所) 佐藤 隆史(生体調節研究所)   |          |
| 技術分野  | 医薬・遺伝子改変動物   | IP17-029 |
| 発明の概要 | 栄養吸収障害性疾患の治療薬のスクリーニングや治療法の開発に用いることのできる、モデル動物。  |          |
| 説明図   | <p>rab8a 遺伝子ヘテロノックアウトマウス (+/-) 又はホモノックアウトマウス (-/-) の小腸における、SGLT (Na-グルコーストランスポーター) 及び DPP4 (ジペプチジルペプチダーゼ 4) の発現を示す図 (倍率 100 倍)。rab8a (+/-) マウスでは通常通り SGLT や DPP4 は頂端側に見られたのに対し、rab8a (-/-) マウスでは SGLT や DPP4 が頂端側から減少し、細胞内部に取り込まれていることがわかった。この現象はヒトの栄養吸収障害性疾患の一つである微絨毛萎縮症の所見と酷似している。</p> |          |
| ポイント  | 低分子量 GTP 結合タンパク質の1つとして、Rab 分子群が知られている。発明者らは染色体上の rab8a 遺伝子を欠損させたマウスが小腸や空腸などにおいて微絨毛の萎縮を起こし、栄養吸収障害を呈することを見出した。このマウスを用いることで、ヒトの栄養吸収低下をおこす疾患のメカニズムの解明や、これらの疾患の治療のための薬物のスクリーニング、更にはウイルスベクターなどを用いて遺伝子治療を行うことも可能である。  |          |