

課題番号	LS088
------	-------

**先端研究助成基金助成金(最先端・次世代研究開発支援プログラム)
実施状況報告書(平成22年度)**

本様式の内容は一般に公表されます

研究課題名	新規原因遺伝子 Optineurin を中心とした筋萎縮性側索硬化症の発症機序の解明
研究機関・ 部局・職名	広島大学・ 原爆放射線医科学研究所・准教授
氏名	丸山博文

1. 当該年度の研究目的

ナンセンス変異患者由来の iPS 細胞の作製に向けクローンを樹立し、ニューロンへの分化能を検討する。トランスジェニックマウスを作製する。

2. 研究の実施状況

筋萎縮性側索硬化症は根本的な治療法が存在しない難病中の難病です。人工呼吸器などのサポートがなければ発症後3〜5年で死に至ります。そのため根本的で有効な治療法の開発が望まれています。治療法開発の手がかりをえるためには、この病気をおこす原因遺伝子を見つける必要があります。実際アルツハイマー病やパーキンソン病ではまれな家族性のものの原因遺伝子を発見することにより、その後の研究が進展し、病態の解明がすすんでいます。今回私たちは新たな手法を用いて筋萎縮性側索硬化症の新規原因遺伝子として Optineurin(オプチニューリン)を発見しました。これまで筋萎縮性側索硬化症においてオプチニューリンとの関連は想定されていませんでした。しかしながらオプチニューリンは細胞の中で重要な働きをしている Nuclear factor kappa B の活性を調整している大事なタンパク質です。オプチニューリンおよび関連するタンパク質の解析をすすめていくことにより、病気の原因をさぐっていきます。

本年度は研究期間が1ヶ月あまりしかなく、今後の研究に向けて準備を進めました。人工多能性幹細胞(iPS 細胞)の作製に向け条件の検討を行っています。またモデルマウスを作製するために遺伝子操作を行っているところです。今後、モデルマウスの飼育・交配を行い、筋萎縮性側索硬化症と類似の症状(筋肉のやせ、食べにくさなど)を示すかどうか観察していきます。

様式19 別紙1

3. 研究発表等

雑誌論文 計0件	(掲載済み一査読有り) 計0件 (掲載済み一査読無し) 計0件 (未掲載) 計0件
会議発表 計2件	専門家向け 計2件 Hideshi Kawakami, Hirofumi Maruyama, Hidefumi Ito. OPTN and Motor neuron disease. Tokyo, 2011.2.22, International Symposium on Motor Neuron Disease and Perry Syndrome in Tokyo. Juntendo University. Hideshi Kawakami, Hiroyuki Morino, Hirofumi Maruyama. Mutations of optineurin gene in ALS. 2011.3.3, Hiroshima, 1 st International Symposium. Hiroshima University, Research Institute for Radiation Biology and Medicine. 一般向け 計0件
図書 計0件	
産業財産権 出願・取得状況 計0件	(取得済み) 計0件 (出願中) 計0件
Webページ (URL)	
国民との科学・技術対話 の実施状況	本年度は実施せず。
新聞・一般雑誌等掲載 計0件	
その他	

4. その他特記事項

実施状況報告書(平成22年度) 助成金の執行状況

本様式の内容は一般に公表されます

1. 助成金の受領状況(累計)

(単位:円)

	①交付決定額	②既受領額 (前年度迄の 累計)	③当該年度受 領額	④(=①-②- ③)未受領額
直接経費	129,000,000	0	52,400,000	76,600,000
間接経費	38,700,000	0	15,720,000	22,980,000
合計	167,700,000	0	68,120,000	99,580,000

2. 当該年度の収支状況

(単位:円)

	①前年度未執 行額	②当該年度受 領額	③当該年度受 取利息等額 (未収利息を 除く)	④(=①+②+ ③)当該年度 合計収入	⑤当該年度 執行額	⑥(=④-⑤) 当該年度未執 行額
直接経費	0	52,400,000	0	52,400,000	200,000	52,200,000
間接経費	0	15,720,000	0	15,720,000	0	15,720,000
合計	0	68,120,000	0	68,120,000	200,000	67,920,000

3. 当該年度の執行額内訳

(単位:円)

	金額	備考
物品費	200,000	試薬類
旅費	0	
謝金・人件費等	0	
その他	0	
直接経費計	200,000	
間接経費計	0	
合計	200,000	

4. 当該年度の主な購入物品(1品又は1組若しくは1式の価格が50万円以上のもの)

物品名	仕様・型・性能 等	数量	単価 (単位:円)	金額 (単位:円)	納入 年月日	設置研究機関 名
				0		
				0		
				0		