

寄附講座部門 ライソゾーム病研究講座

主任研究者：衛藤 義勝
 兼任研究者：井田 博幸
 (小児科学講座から出向)
 兼任研究者：大橋 十也
 (DNA 医学研究所遺伝子治療部から出向)
 兼任研究者：小林 博史
 (DNA 医学研究所遺伝子治療部から出向)
 兼任研究者：沈 勁松
 (DNA 医学研究所遺伝子治療部から出向)
 兼任研究者：孟 興麗
 (DNA 医学研究所遺伝子治療部から出向)
 訪問研究員：遠藤 泰史
 研究補助員：清水 寛美
 研究補助員：古谷 朝子
 研究補助員：河越 しほ

教育・研究概要

遺伝病(ライソゾーム病)研究講座は平成19年4月1日日本学初の寄付講座として開設された。主任研究者1名, 兼任研究員5名, 訪問研究員1名研究補助員3名で現在研究を行っている。研究のテーマとしては

1) iPS多機能分化幹細胞をマウス皮膚より作成に成功し, ヒト遺伝病, 特にファブリ病, ゴーシェ病での作成に取り組む予定である。

2) 幹細胞・遺伝子治療法の開発: レンチウイルス, AAVウイルスベクターを用いたのポンペ病, ムコ多糖症, クラベ病マウスモデルでの治療の開発に取り組んでいる。

3) 筋ジストロフィー施設, 身体障害者施設, 腎不全・透析施設でのポンペ病, 先天性ムコ多糖症, ファブリ病のハイリスクスクリーニングを血液乾燥濾紙血で行い, 患者の診断更には治療に向けて研究。全国障害者施設100名近くの患者より数名のポンペ病の酵素活性低下者を見出している。今後症例を重ね検討を進める。

4) 患者支援として, ライソゾーム病患者への電話相談, 診断, 治療のコンサルティングなどから臨床研究への応用を行う。

「点検・評価」

発足一年目で研究体制の整備に力を入れた。新しい人材確保・研究テーマの選択策に重点を置いた。

研究業績

I. 原著論文

- 1) 藤原優子, 大橋十也, 小林正久, 衛藤義勝. Fabry病の心病変に対する酵素補充療法の効果. 男女間での臨床経過の比較. 慈恵医大誌 2007; 122(6): 295-304.
- 2) Ohashi T, Sakuma M, Kitagawa T, Suzuki K, Ishige N, Eto Y. Influence of antibody formation on reduction of globotriaosylceramide (GL-3) in urine from Fabry patients during agalsidase beta therapy. Mol Genet Metab 2007; 92(3): 271-3.
- 3) Miyata I, Yoshikawa H, Ikemoto M, Eto Y. Right testicular necrosis and left vanishing testis in a neonate. J Pediatr Endocrinol Metab 2007; 20(3): 449-54.
- 4) Shiba H, Misawa T, Iida T, Okamoto T, Futagawa Y, Sakurai M, Ohashi T, Eto Y, Yanaga K. Adenovirus vector-mediated gene therapy using iodized oil esters for hepatocellular carcinoma in rats. Anticancer Res 2008; 28(1A): 51-3.
- 5) 衛藤義勝. 質疑応答 ムコ多糖症の概要と治療. 日医新報 2008; 4371: 95-6.
- 6) 衛藤義勝. 脳治療は可能か? 遺伝性脳変性疾患の治療の最近の進歩. 脳と発達 2007; 39(2): 87-92.
- 7) Miyata I, Abe-Gotyo N, Tjima A, Yoshikawa H, Teramoto S, Seo M, Kannno K, Sugiura K, Tanaka T, Eto Y. Successful intrauterine therapy for fetal goitrous hypothyroidism during late gestation. Endocr J 2007; 54(5): 813-7.
- 8) Lei K, Ninomiya H, Suzuki M, Inoue T, Sawa M, Iida M, Ida H, Eto Y, Ogawa S, Ohno K, Suzuki Y. Enzyme enhancement activity of N-octyl-beta-valienamine on beta-glucosidase mutants associated with Gaucher disease. Biochim Biophys Acta 2007; 1772(5): 587-96.

II. 総説

- 1) 衛藤義勝. 【新しい神経疾患治療薬の動き】その他ライソゾーム病. Clin Neurosci 2007; 25(11): 1280-2.

III. 学会発表

- 1) 小林博司, 森田麻子, 大橋十也, 衛藤義勝, 福田隆浩. Lentivirus mediated gene therapy for Krabbe disease. 第13回日本遺伝子治療学会総会・学術集会. 名古屋, 6月.
- 2) 有賀賢典, 小林博司, 大橋十也, 小林麻子, 飯塚佐代子, 衛藤義勝. レンチウイルスベクターを用いたムコ多糖症VII型(MPSVII)の遺伝子治療. 第49回日本先天代謝異常学会. 山形, 11月.

- 3) 横井貴之, 清水寛美, 飯塚佐代子, 小林博司, 大橋十也, 福田隆浩, 衛藤義勝. 新生児 Twitcher Mouse への BMT の効果の検討. 第 49 回日本先天代謝異常学会. 山形, 11 月.
- 4) 衛藤義勝. (シンポジウム) 我が国の小児医療の危機と小児科医の QOL. 第 27 回日本医学会総会. 大阪, 4 月.
- 5) 衛藤義勝. 遺伝性神経疾患の治療は可能か? 南東北講演会. 郡山, 6 月.
- 6) Eto Y. New strategy for the treatment of genetic disease. The 24th International Congress of Pediatrics. Athens, Sept.
- 7) 衛藤義勝. (講演) ファブリ病の酵素治療の進歩. 第 52 回日本人類遺伝学会. 東京, 9 月.
- 8) 衛藤義勝. (講演) ポンペ病の最近の進歩. 厚生労働省難病克服事業筋ジストロフィー班会議. さいたま, 9 月.
- 9) 衛藤義勝. ファブリ病の最近の進歩. 東日本皮膚科学会. 札幌, 9 月.
- 10) 衛藤義勝. ファブリ病の酵素補充療法—最近の進歩. 住友ファブリ病フォーラム. 東京, 9 月.
- 11) 衛藤義勝. (シンポジウム) 東京慈恵会医科大学における先端医療の展開. 第 124 回成医会総会. 10 月.
- 12) 衛藤義勝. 21 世紀の我が国の小児医療の展望. 神奈川小児医学セミナー. 横浜, 2007. 11 月.
- 13) Eto Y. Current status of enzyme replacement therapy of LSD in Japan. International Symposium of LSD. Maihama, Dec.
- 14) 衛藤義勝. ファブリ病の酵素補充療法—最近の進歩. 第 28 回日本小児脂質研究会. 12 月.
- 15) Eto Y. Enzyme replacement therapy in Fabry disease, UCLA Children Hospital Seminar, Los Angels, 2007. Feb.
- 16) 衛藤義勝. 我が国の小児医療政策. 第 1 回日本小児医療政策研究会. 東京, 2 月.
- 17) 衛藤義勝. 21 世紀の我が国の小児医療の展望. 第 100 回葛飾小児科医会. 東京, 2007. 3 月.
- 18) Eto Y. Recent advances of the treatment for Genetic diseases. Asian Congress of Pediatrics, Colombo, 2007. Mar.
- 19) 衛藤義勝: Treatment for lysosomal storage disease. Chinese Society Meeting of Lysosomal Storage Disease. Shanghai, 2007. Mar.
- 2) 衛藤義勝. 蛋白尿, 頭痛, 四肢の激痛で来院した 26 歳男性. 榎野博史編. New 専門医を目指すケース・メソッド・アプローチ 5: 腎臓疾患. 東京: 日本医事新報社, 2007. 3 月. p. 106-13.
- 3) Ohashi T, Eto Y. Cell therapy for peripheral diseases and reconstructive applications: Transplantation for lysosomal storage disease. In: Halberstadt C, Emerich D, editors. Cellular transplantation: from laboratory to clinic. Amsterdam: Academic Press, 2006. Nov. p. 205-14.

IV. 著 書

- 1) 衛藤義勝. Fabry 病の酵素療法はどのくらい有効か. 岡本幸市, 棚橋紀夫, 水沢英洋編. EBM 神経疾患の治療 2007-2008. 東京: 中外医学社, 2007. 1 月. p. 279-83.