



血糖値の変動に応じた機能的インスリン分泌を可能とするAAVベクターの構築と1型糖尿病モデルに対する治療効果の検討－1型糖尿病の根治を目指して－

研究代表者 菅澤 威仁 (筑波大学医学医療系スポーツ医学研究室 助教)

研究のゴール 1型糖尿病の根治

研究の特徴 遺伝子治療薬を開発し、筋肉などの組織に膵臓と同じ機能を付加することにより、1回の注射で1型糖尿病を根治させる事を目指します。

研究概要

本研究では、「血糖値に反応する遺伝子スイッチ」と、「インスリン遺伝子」を搭載した組換えアデノ随伴ウイルス (rAAV) ベクター (遺伝子の運び屋) を構築し、筋肉などの組織に膵臓と同じ機能を付加することにより、1回の注射で1型糖尿病を根治させる事を目指します (図1)。たった1回の注射で根治させる事は夢物語のような話ではありますが、現代の急速に発展する遺伝子治療テクノロジーを用いれば十分可能だと考えます。当研究チームはマルチオミックス解析 (遺伝情報の網羅的な解析) を得意としており、大規模データ解析を通じて、新規の「血糖値に反応する遺伝子スイッチ」を見つけ出す事を初年度の目標にしています。

これまでの研究結果・成果

これまで我々の研究チームは、アスリートにおいて使用が懸念される「遺伝子ドーピング」の検査方法の確立を目指して研究を行ってきました。「遺伝子ドーピング」は急速に進化する遺伝子治療技術をアスリートの競技力向上のために悪用する事を指し、東京オリンピックの開催もあり、本邦で非常に注目されるキーワードとなっています。本研究チームの主な活動場所である筑波大学では、大学を上げて「遺伝子ドーピング」の検査方法の確立を目指しており、これまで多くの成果を上げてきました。我々の研究チームは、このような遺伝子ドーピング研究で培ってきた知識・技術を1型糖尿病研究に応用できると考え、本研究を立案しました。また、研究代表者の菅澤は、数年間、2型糖尿病の治療薬開発にも携わっていた経験もあり、本研究を遂行するための準備は十分整っています。

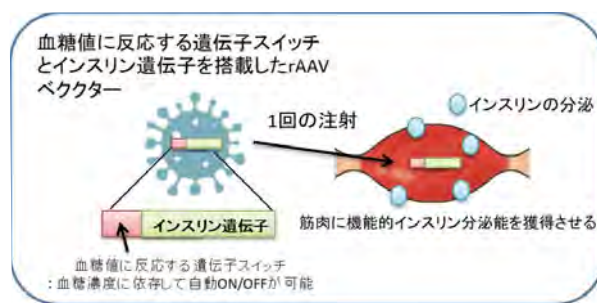


図1 本研究で構築を目指すrAAVベクターの概略

現在の状況

研究がスタートしたばかりではありますが、遺伝子ドーピング研究や、2型糖尿病研究で身に付けたスキルをそのまま本研究に転用できるため、準備としては十分であると考えています。

この研究で患者の生活や他の研究にどのような波及効果があるか(期待されるか)

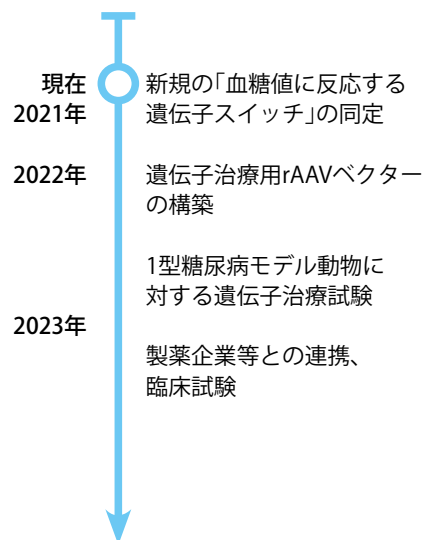
本研究で1型糖尿病に対する遺伝子治療薬としてのrAAVベクターが構築出来た場合、1回の注射や点滴療法で、恒久的に血糖値を安定させることが出来ると見込まれます。それにより、1型糖尿病患者さんが、毎日の頻繁なインスリン自己注射や血糖測定から完全に開放され、幸福な未来を描けます。

患者・家族、寄付者へのメッセージ

私自身も、1型糖尿病ではありませんが、難病を患う身であります。私の場合は幸運にも、先駆者らの医学研究のおかげで、非常に良い治療方法が確立されており、健常者と変わらない生活を送ることができています。そのため、日々研究を行って治療を確立し、私の人生を幸福に導いてくださった先駆者の方々に非常に感謝しています。今後は私自身が恩返しする番であり、1型糖尿病研究を通して、患者さんやご家族の皆様の期待に添えられよう日々努力を重ね、一刻も早く1型糖尿病研究を根治させるべく、全力を尽くします。皆様の「1型糖尿病研究を根治させてほしい」という大切な思いを託された身ですので、最短で最大限の成果が上げられるよう、全力で研究を実施していきます。

ロードマップ

現在の進捗率
約5%



● 1型糖尿病の根治(1型糖尿病に対する遺伝子治療薬として薬事承認を目指す)

● 菅澤威仁先生プロフィール 【①座右の銘 ②趣味 ③特技 ④尊敬する人 ⑤好きな食べ物】

①Challenge Everything ②ワンコと遊ぶ ③RNAシーケンス ④すべての人々 ⑤ラズベリー