

# 神経難病の一因解明

群馬大研究グループ 治療薬開発を期待

細胞内の小器官「小胞体」に変異タンパク質が蓄積して発症する遺伝性の神経難病「シャルコー・マリー・トウース(CMT)病」で、

群馬大生体調節研究所の佐藤健教授、原太一准教授らの研究グループは、蓄積に

関わる複数の因子を発見した。発症メカニズムの一端が解明されたことで、治療薬の開発につながることを期待される。

CMT病は足から筋力の低下や筋萎縮が起き、歩行困難になる難病で、神経細

胞の一部を取り囲んで保護する「シユワン細胞」の表面で働くタンパク質、PMP22の異常が原因の一つ。変異したPMP22が、

タンパク質の「品質チェック」を担う「小胞体」を通り過ぎて蓄積することで、細胞の機能不全や細胞死を引き起こし、発症する。

今回の研究で、①不完全なタンパク質を小胞体内にとどめる「カルネキシン」

②小胞体へ送り返す「Ret1」の二つのタンパク質が蓄積に関わっていることが分かった。両タンパク質の機能を低下させる薬ができれば、治療につながる可能性がある。

このほか、小胞体に蓄積した変異タンパク質を分解する別の因子も発見した。

12日に県庁で会見した原准教授は「創薬に向け、ターゲットが見つかったことは大きな成果だ」と話した。研究成果は11日に英国オンライン科学誌「Scientific Reports」に掲載された。

# 神経難病 仕組みの一端解明

群馬大の佐藤健教授と原太一准教授(細胞生物学)の研究グループは12日、原因不明で治療法がない神経疾患「シャルコー・マリー・トゥース病」の原因となる変異たんぱく質が細胞内に蓄積する仕組みの一端を解明したと発表した。

## シャルコー・マリー・トゥース病 群馬大

シャルコー・マリー・トゥース病は、手足の筋肉が徐々に萎縮し、運動や感覚の障害を起こす神経疾患。同大によると、日本では10万人に1人、欧米では2500人に1人の割合で発症すると報告されているが、

根本的な治療法は確立されていない。

グループは、変異たんぱく質の蓄積にかかわる因子の機能を同時に低下させることで、蓄積を劇的に緩和し、細胞膜などへの輸送が促されることを明らかにした。佐藤教授は「疾患の原因解明や治療薬の開発にも役立つことが期待される」と話した。

# 遺伝性の神経難病 発症の仕組み解明

群大グループ

足などの末梢神経の機能と筋力が徐々に失われていく遺伝性の神経難病「シャルコー・マリー・トウース病」の発症の仕組みを、群馬大生体調節研究所の佐藤健教授と原太一准教授らの

研究グループが解明した。英科学誌「サイエンティフィック・リポート」電子版に11日に掲載された。治療法や薬の開発につながると思われる。この病気は、細胞内の小

胞体で作られた変異たんぱく質が、本来運ばれるはずの細胞膜に移動せず、小胞体に蓄積することが原因と考えられていたが、仕組みは分かっていなかった。

佐藤教授らによると、細胞内で「カルネキシン」と「Rer1」という二つのたんぱく質の働きを同時に

低下させたところ、変異たんぱく質が小胞体から搬出され、蓄積が劇的に緩和されたことが確認できた。

小胞体に変異たんぱく質がたまると細胞が壊れる。今回は、変異たんぱく質を分解する機能を持つ別の二つのたんぱく質も突き止めた。搬出を阻害する原因とともに、蓄積を解消する手がかりを見つけたことで、すでにある薬の活用や新薬の開発に役立つという。

欧米では2500人に1人が発症する病気といい、原准教授は「(対処すべき)ターゲットが見つかったことは大きな前進」と強調。佐藤教授は「類似の別の難病の仕組み解明にも役立つのではと期待している」と話した。(井上裕)

# 遺伝性の神経難病 発症の仕組み解明

群大グループ

足などの末梢神経の機能と筋力が徐々に失われていく遺伝性の神経難病「シャルコー・マリー・トゥース病」の発症の仕組みを、群馬大生体調節研究所の佐藤健教授と原太一准教授らの

研究グループが解明した。英科学誌「サイエンティフィック・リポート」電子版に11日に掲載された。治療法や薬の開発につながると思われる。

この病気は、細胞内の小

胞体で作られた変異たんぱく質が、本来運ばれるはずの細胞膜に移動せず、小胞体に蓄積することが原因と考えられていたが、仕組みは分かっていなかった。

佐藤教授らによると、細胞内で「カルネキシン」と「Rei1」という二つのたんぱく質の働きを同時に

低下させたところ、変異たんぱく質が小胞体から搬出され、蓄積が劇的に緩和されたことが確認できた。

小胞体に変異たんぱく質がたまると細胞が壊れる。今回は、変異たんぱく質を分解する機能を持つ別の二つのたんぱく質も突き止めた。搬出を阻害する原因とともに、蓄積を解消する手がかりを見つけたことで、すでにある薬の活用や新薬の開発に役立つという。

欧米では2500人に1人が発症する病気といい、原准教授は「(対処すべき)ターゲットが見つかったことは大きな前進」と強調。佐藤教授は「類似の別の難病の仕組み解明にも役立つのではと期待している」と話した。(井上裕)