

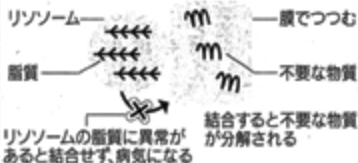
# 薬、細胞に取り込みやすく

東京医科歯科大学の田村篤志助教と田井伸彦教授らは、薬剤を数珠状にする事で細胞に効率よく取り込ませて、病気の治療に役立てる手法を開発した。人体に備わる細胞内の不要な物質を分解するオートファジー(自食作用)という働きを高める。知能障害などが出る希少難病「ニーマンピック病」の患者の細胞で実験し成果を得た。オートファジーの異常が絡むパーキンソン病などにも応用できるとみている。

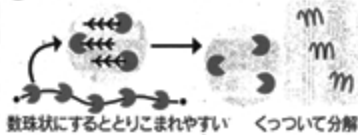
## 東京医科歯科大、遺伝性の難病で成果

## 数珠状につなげ実現

神経難病の症状改善を目指す



薬の成分、単独だととりこまれにくい



病気が起こる仕組み

治療のイメージ

現れる遺伝病のニーマンピック病C型に着目した。患者は国内に数十人いるとみられる。

この病気は細胞内でのみ処理工場である「リソソーム」と呼ぶ小器官に脂質などが過剰にたまる。この結果、オートファジーによる不要物質の

▼オートファジー 細胞内で古くなり不要な成分は新しくたんぱく質やミトコンドリアなどを分解する働き。たんぱく質などを膜で包み、細胞内の小器官「リソソーム」と結合して分解する。この中で不要な物質の分解が進む。分解した成分は新しくたんぱく質などを作用の役に立てていく。

れやすくなったという。細胞内に入った後は、結合が切れて薬が作用する。患者の皮膚の繊維芽細胞で実験した。薬剤を効率よくリソソームに送り込むことができた。シンクロナキストリンは体内で分解されやすく、従来は大量に投与する必要があったという。新手法により、従来の100分の1の投与量で同様の効果が得られるのを確かめた。大量投与で起きる赤血球を溶かしたり細胞を死滅させたりする副作用を減らせる見通しも立ったという。

オートファジーでは不要な物質を膜で取り込んだ後、リソソームと融合して大きくなる。数珠状の薬剤を投与した細胞を1日後に観察すると、大きなリソソームの数が約4倍に増えていた。詳しい仕組みは未解明だが、オートファジーの機能そのものを改善する効果があるともみている。

今後病気のモデルマウスなどで効果をさらに確かめる。製薬企業と協力し、5年をめどに実用化を目指す。(八木悠介)