

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由井伸彦教授らは、薬剤を数珠状にすること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（目

研究チームは、主に子供で

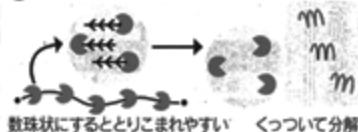
東京医科歯科大、遺伝性の難病で成果

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



数珠状にするととりこまれやすい くつついて分解

現れる遺伝性の「ニーマンピック病C型」に着目した。

この病気は細胞内のごみ処理工場である「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

分解が滞ってしまうという。患者は国内に数十人いるとみられる。

研究チームは臨床研究で薬として試みられているオリゴ糖「シクロデキストリン」を数珠状にいくつもつなげた。この工夫で、細胞内に取り込ま

▼オートファジー細胞内の古くなり不要となった成分は新しくたんぱく質などを作るのに役立てている。

遺伝子異常や脂質がたまるなどでリソソームが機能不全になってオートファジーの働きが低下すると、神経細胞などで不要な物質がたまってしまふ。これがパーキンソン病などの神経変性性の発症原因になるといわれている。がんの発症にもオートファジーが関わっていると言われている。

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。

シクロデ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いわれている。

今後は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)