



代表者 **中森 雅之** 教授

メンバー 根本 壤 医師

業績例

1. Nakamori M, Nakatani D, Sato T, Hasuike Y, Kon S, Saito T, Nakamura H, Takahashi MP, Hida E, Komaki H, Matsumura T, Takada H, Mochizuki H. Erythromycin for myotonic dystrophy type 1: a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 2 trial. *EClinicalMedicine*. 2023;67:102390.

2. Murakami E, Nakamori M, Nakatani K, Shibata T, Tainaka K. Intracerebral Distribution of CAG Repeat-Binding Small Molecule Visualized by Whole-Brain Imaging. *Bioconjug Chem*. 2023;34(12):2187-2193.

3. Hasuike Y, Tanaka H, Gall-Duncan T, Mehkary M, Nakatani K, Pearson CE, Tsuji S, Mochizuki H, Nakamori M. CAG repeat-binding small molecule improves motor coordination impairment in a mouse model of Dentatorubral-pallidoluysian atrophy. *Neurobiol Dis*. 2022;163:105604.

4. Nakamori M, Panigrahi GB, Lanni S, Gall-Duncan T, Hayakawa H, Tanaka H, Luo J, Otabe T, Li J, Sakata A, Caron MC, Joshi N, Prasolava T, Chiang K, Masson JY, Wold MS, Wang X, Lee MYWT, Huddleston J, Munson KM, Davidson S, Layeghifard M, Edward LM, Gallon R, Santibanez-Koref M, Murata A, Takahashi MP, Eichler EE, Shlien A, Nakatani K, Mochizuki H, Pearson CE. A slipped-CAG DNA-binding small molecule induces trinucleotide-repeat contractions in vivo. *Nat Genet*. 2020;52(2):146-159.

共同研究

大阪大学
ラデナ・サイエンス株式会社
The Hospital for Sick Children

本研究により解決される課題

トリプレットリピート病、ハンチントン病、筋ジストロフィー、脊髄小脳失調症、筋萎縮性側索硬化症など

技術の内容

疾患を引き起こす遺伝子異常を、標的核酸に対して配列・構造特異的に結合する分子により、ゲノムレベルで根本的に修復する。

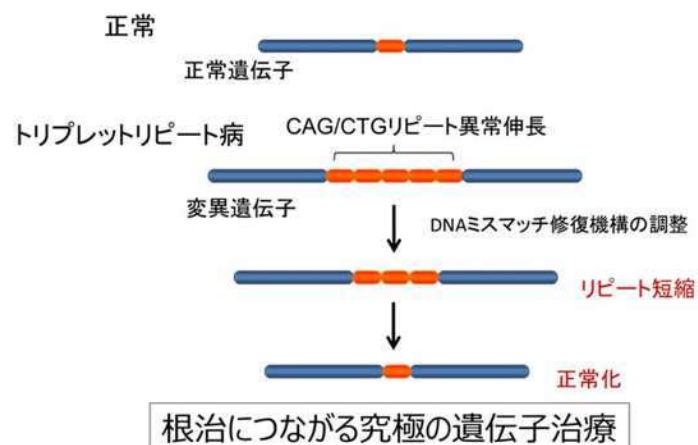
技術の独自性・優位性

いずれも根本的治療薬のない疾患に対し、新たな治療薬モダリティをもちいたゲノム編集治療により遺伝子を正常化させる治療を目指している。

現在得られているデータの概要

疾患モデル細胞、疾患モデル動物で治療効果が確認されている。

トリプレットリピート病のCAG/CTGリピート短縮治療



- 通常の遺伝子治療で用いられるウイルスベクターなどの外来物質を必要とせず、生体に本来備わるDNA修復機構を制御
- CAG/CTGリピートが原因となる疾患すべてに適用可能（高い汎用性）
- CGG、GGGGCCリピート疾患（NIID、ALSなど）へも応用可能