

# スタチンが軟骨無形成症患者由来のiPS細胞の軟骨形成を回復

～疾患特異的iPS細胞モデルによる既承認薬の適用拡大の可能性を示唆～

\*スタチン：HMG-CoA還元酵素の働きを阻害することにより、血液中のコレステロール値を低下させる薬物の総称

**Nature** の論文に 山下 晃弘 研究員、妻木 範行 教授

(京都大学 CiRA 増殖分化機構研究部門) らの研究グループの研究の成果が掲載！！

“Statin treatment rescues FGFR3 skeletal dysplasia phenotypes”

Yamashita A, Morioka M, Kishi H, Kimura T, Yahara Y, Okada M, Fujita K, Sawai H, Ikegawa S, and Tsumaki N., Nature. 2014 Sep 25;513(7519):507-11. doi: 10.1038/nature13775. Epub 2014 Sep 17.

## 概要：

線維芽細胞増殖因子受容体3(FGFR3)遺伝子変異は、タナトフォリック骨異形成症(TD)と軟骨無形成症(ACH)患者のような骨格異形成をもたらします。

しかし、これまでヒト細胞を用いた疾病モデルがないため、これらの疾患の臨床的に有効な治療法の同定が妨げられておりました。

筆者らはこの論文のなかで、TDタイプ1(TD1)と(ACH)患者からiPS細胞を作成し、スタチン処方により軟骨細胞分化機序の違うTD1-iPS細胞とACH-iPS細胞の両方の軟骨劣化形成を補正することを示しました。また、ACHモデルマウスにスタチンを処方したところ骨成長が顕著に回復しました。これらの結果は、スタチンがTD1とACH疾患の子供のための医学的治療に有効である可能性を示唆しています。



## ***Medical-Beads Shocker®***

この論文の中でMedical-BeadsShocker®がiPS細胞由来の軟骨組織破碎に活躍しています。乳鉢・乳棒による手作業に比べ、RNAの収量が5倍UPし、純度(A260/280比)も1.8の正常付近に改善しました。再現性も良好です。同フロアーの研究員にも好評です。(山下先生のコメントより)



山下 晃弘 先生  
(Dr. Yamashita Akihiro)

歯科医として病院勤務後、博士号を取得し、カルガリー大学(カナダ)へ留学。大学院、留学時代を通じてES細胞を用いた骨・軟骨への分化誘導の研究を行ってきましたが、ヒトのiPS細胞を用いた研究を行うため2012年より京都大学iPS細胞研究所(CiRA)に所属しています。現在は、ヒトiPS細胞由来軟骨を用いた軟骨再生と、骨系統疾患に対する病態解明と創薬研究を行い、研究成果を患者さんへ届けられるよう努力を続けています。

※京都大学 iPS細胞研究所 CiRA サイラNewsletter 2014年10月号Vol.19 より抜粋