



平成 29 年 2 月 2 日

各 位

会 社 名 株式会社アイロムグループ
代 表 者 名 代表取締役社長 森 豊隆
(コード番号 2372 東証第一部)
問 合 せ 先
役 職 常務執行役員 CEO オフィス長
氏 名 渡辺 潔
電 話 03-3264-3148

京都大学 iPS 細胞研究所の脊髄運動ニューロンを簡便に作製する技術開発 における当社子会社のセンダイウイルスベクターの利用について

本日平成 29 年 2 月 2 日に、「センダイウイルスベクターを用いて ES 細胞/iPS 細胞から脊髄運動ニューロンを簡便に作製する技術開発」について、京都大学 iPS 細胞研究所（所在地：京都市、所長：山中 伸弥、以下、「CiRA」という）の発表がありました。

本研究においては、当社子会社の株式会社 ID ファーマ（以下、「ID ファーマ」という）の中核技術であるセンダイウイルスベクター（※1）が用いられており、ID ファーマは平成 26 年 10 月 23 日付「当社子会社による京都大学 iPS 細胞研究所との創薬研究用疾患標的細胞への分化誘導法研究に関する共同研究契約締結のお知らせ」にて公表しております共同研究に基づき、iPS 細胞（※2）からの分化誘導に必要な転写因子（※3）を搭載したセンダイウイルスベクターの作製、およびそのために必要な改良等を行いました。

センダイウイルスベクターが iPS 細胞から分化細胞を作製する過程で転写因子等の遺伝子を導入するのに有用であることが、本研究において示されました。これにより、ID ファーマのセンダイウイルスベクターによる細胞への遺伝子導入技術が iPS 細胞の作製だけでなく、分化細胞の作製においても広く活用されることが期待されます。

今後も遺伝子創薬や再生医療の早期実用化に貢献すべく、自社のみならず大学等の研究機関との研究開発を進めてまいります。

2. 業績に与える影響

本件による平成 29 年 3 月期の業績への影響はありません。当期の業績予想に変更はありませんが、変更が生じる場合には速やかにお知らせいたします。

【参考：「センダイウイルスベクターを用いて ES 細胞/iPS 細胞から脊髄運動ニューロンを簡便に作製する技術開発」の要旨】

CiRA 増殖分化機構研究部門 井上 治久教授を総括責任者とする研究チームは、センダイウイルスベクターを用いて LIM/homeobox protein 3 (Lhx3)、Neurogenin 2 (Ngn2)、Islet-1(Isl1)という 3つの転写因子を導入することにより、ES 細胞および iPS 細胞から脊髄運動ニューロンへ分化させる方法を確認しました。本技術が脊髄運動ニューロンの病変を有する神経疾患の研究に応用可能であることを確認するため、家族性筋萎縮性側索硬化症（※4）（以下、「ALS」という）の患者様の細胞から作製した iPS 細胞を、本技術を用いて脊髄運動ニューロンへと分化させたところ、病気の特徴とされる異常タンパク質を有する細胞の増加が認められました。

これまで ES 細胞および iPS 細胞から脊髄運動ニューロンを分化させる方法は報告されてきましたが、多くの培養ステップを踏む必要がありました。この度確立された本技術は、転写因子を搭載したセンダイウイルスベクターを用いて、ES 細胞および iPS 細胞から脊髄運動ニューロンへワンステップで、極めて簡便に分化させることを可能にしたものです。

今後、ALS などの脊髄運動ニューロンの病変を有する神経疾患に対する ES 細胞や iPS 細胞を用いた研究の促進に繋がることが期待されます。

なお、本研究の成果は、米国科学誌「Molecular Therapy - Methods & Clinical Development」でオンライン公開されています。（論文名：“Simple Derivation of Spinal Motor Neurons from ESCs/iPSCs Using Sendai Virus Vectors”）

※1. センダイウイルスベクター

ベクターとは、治療用などの遺伝子を特定の細胞・臓器・組織に運搬し、その標的細胞内へ効果的に遺伝子を導入し発現する働きを持つ物質のことです。中でも、ID ファーマが独自に開発した「センダイウイルスベクター」は、従来のベクターとは全く概念が異なり、細胞質内に留まる RNA ゲノムを持ち、標的細胞の核に入ることなく遺伝子を発現します。従って、導入した遺伝子が染色体を傷つけることがありません。前臨床試験を通じ安全性の高さが確認されている他、遺伝子医薬品やバイオ製品分野での利用に高い信頼性と実績を有しております。

※2. iPS 細胞

induced pluripotent stem cell (人工多能性幹細胞)のことであり、体細胞に特定の遺伝子を導入することにより樹立される、ヒト等のあらゆる組織、細胞に分化する能力を持つ幹細胞のことです。

※3. 転写因子

DNA に結合し、DNA から RNA への転写、特に転写開始に関わる因子であり、DNA に結合して働くものや因子間の相互作用によって機能するものがあります。

※4. 筋萎縮性側索硬化症 (Amyotrophic Lateral Sclerosis : ALS)

運動神経細胞に異常が生じることで、全身の筋肉が徐々に動かなくなる病気であり、これまでに根本的な治療法は確立されておらず、日本では特定疾患に認定されています。

以上