

遺伝性の目の難病「クリスタリン網膜症」の患者から作製したiPS細胞(人工多能性幹細胞)を使って発症の仕組みを調べ、治療薬として有望な化合物を見つけたと、京都大のチームが発表した。3〜4年後を目標に臨床試験の実施を目指すという。

クリスタリン網膜症の国内の推定患者数は約2000人で、根本的な治療法はない。20歳代頃から、網膜の細胞に結晶(クリスタル)状の沈着物ができて視野が徐々に狭まり、多くは失明する。

チームは50〜60歳代の患者3人の皮膚からiPS細胞を作り、さらに網膜の細胞へと変化させ、健康な人の場合と比較した。その結果、患者から作った細胞は形や大きさが不ぞろいで、内部に不要な脂質が大量にたまり、細胞内の老廃物を分解・排出する機能に問題があることがわかった。

目の難病 iPSで創薬に光

そこで、脂質の排出を促す色々な化合物を加えたところ、食品や医薬品の添加剤として使われる「シクロデキストリン」など3種類に、分解・排出する機能を正常化する作用があることが判明。細胞の形や大きさも、健康な人の場合とほぼ同じ状態になった。

チームの池田華子准教授は「治療薬として実用化できれば、

京大チームが 候補物質特定

症状の進行を食い止め、失明を避けられる可能性がある」と話している。

木下茂・京都府立医大教授(眼科学)の話「クリスタリン網膜症のように患者が少ない難病は治療法の開発が難しかったが、iPS細胞を活用すれば短期間で進む可能性を示した意義の大きな成果だ」