

X連鎖性鉄芽球性貧血治療薬のスクリーニング方法

ライセンス契約を受けていただき 本発明の実用化を目指していただける企業様を求めます。

鉄芽球性貧血iPS細胞より誘導した造血前駆細胞を使用した赤芽球分化能の改善薬のスクリーニング方法を考案しました。

◆背景

遺伝性鉄芽球性貧血の中では、ALAS2（赤血球型δアミノレブリン酸合成酵素）遺伝子の変異に伴うX連鎖性鉄芽球性貧血（XLSA）が最も頻度の高い原因です。XLSAはヘム合成不全による、鉄利用障害が原因であり、XLSAの約半数の患者にはビタミンB6の投与が有効ですが、無効である場合輸血や造血幹細胞移植以外に有効な治療法はなく、代替となる治療法の開発が期待されています。

◆発明概要と利点

本発明者らは、ALAS2遺伝子変異を有するXLSA患者の細胞からiPS細胞を作成することに成功しました。

得られたiPS細胞のうち、ALAS2遺伝子変異のないX染色体が不活性化され、ALAS2遺伝子変異を持ったX染色体が活性化されているiPS細胞を分化誘導して造血前駆細胞を得ました。

- **上記の造血前駆細胞の赤芽球への分化効率を測定することで、XLSA治療薬をスクリーニングできます。**

被験物質の存在下における分化効率が、被験物質の不存在下における分化効率よりも高い場合に、被験物質がXLSAの治療薬である可能性があると判定します。

APC CD235a-陽性率 (%)

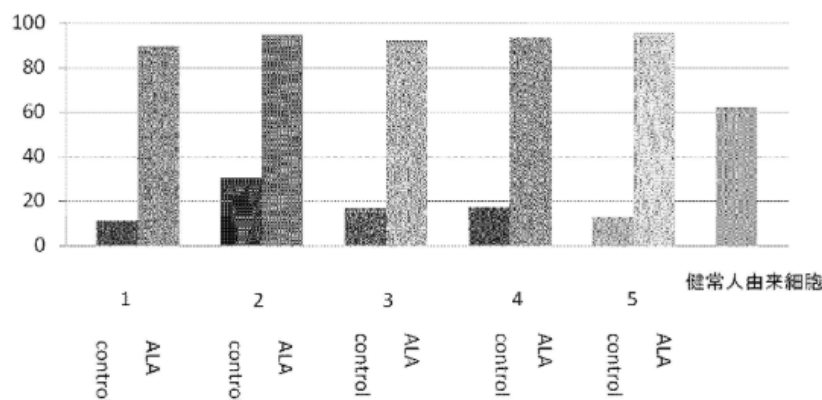


図1.アミノレブリン酸(ALA)によるiPS細胞の赤血球分化効率を調べる実験

分化効率は赤血球に特異的な細胞表面マーカーであるCD235aの陽性率で評価した。ALAの存在下で赤血球分化を行ったiPS細胞の赤血球分化効率はALAの不存在下で赤血球分化を行ったiPS細胞と比べて改善され、健康人由来iPS細胞と同程度まで回復した。

◆開発段階

ALAの存在下で赤血球分化を行ったiPS細胞の赤血球分化効率が健康人由来iPS細胞と同程度まで回復したことを確認済み。

◆適応分野

赤芽球分化能の改善薬のスクリーニング

◆希望の連携形態

「X連鎖性鉄芽球性貧血治療薬のスクリーニング方法」

特許第7201242号

出願人：国立大学法人京都大学

◆希望の連携形態

- ・ 実施許諾契約
- ・ オプション契約

◆お問い合わせ先

京都大学産学連携担当
株式会社TLO京都

〒606-8501

京都市左京区吉田本町

京都大学国際科学イノベーション棟3F

(075)753-9150

licensing_ku@tlo-kyoto.co.jp

