

# 甲南学園平生太郎基金科学研究報告概要

研究課題 核酸の構造及び安定性の制御に基づく新規の脳疾患抑制法の開発  
研究代表者 杉本直己（先端生命工学研究所・所長、教授）

数ある疾患の中でも脳疾患（神経変性疾患と脳腫瘍など）は、特に治療が難しいことで知られる。脳疾患の多くは老化によりその発症率が上昇する。現在、脳疾患を原因とする死者数が世界的に増加しており、罹患者は人口増加と長寿化により今後益々増えると予想される。そのため、脳疾患の画期的な治療法を開発することが国際的課題として認識されつつある。

従来、脳疾患の原因として遺伝子の変異や損傷に由来する「遺伝要因」が重要視されてきたが、脳疾患は複雑であるため「遺伝要因」のみでは、疾患の発症を予測することができない。本研究では、疾患特有の細胞内環境に応答して核酸（DNAやRNA）の構造が変化することに注目し、『「環境要因」に依存した核酸の構造多型（Structured Nucleic Acid Polymorphisms depending on Surroundings: SNAPS、スナップス）が、遺伝子発現などを制御し、脳疾患の発症に関与している』という新しい機構を提唱・実証し、SNAPSを制御する手法を開発することを目指した（図1a）。

その結果、脳疾患に関わる核酸の構造多型（SNAPS）を予測し、制御するためのデータベースを世界で初めて構築した。このデータベースを活用することで、腫瘍形成に関わる遺伝子の発現機構や神経変性疾患を引き起こす細胞内凝集体の形成機構を解明し、これらの機構を制御する新規分子を構築する技術を開発することができた（図1b）。

