

平成21年 2月

# 星谷英寿 学位論文審査要旨

主 査 佐 藤 建 三  
副主査 押 村 光 雄  
同 二 宮 治 明

## 主論文

A highly stable and nonintegrated human artificial chromosome (HAC) containing the 2.4Mb entire human dystrophin gene

(2.4Mbの全長ヒトジストロフィン遺伝子を搭載した非常に安定で非挿入性のヒト人工染色体ベクター)

(著者：星谷英寿、香月康弘、阿部智志、滝口正人、梶谷尚世、渡邊芳徳、吉野とう子、白吉安昭、檜垣克美、Graziella Messina、Giulio Cossu、押村光雄)

平成21年 Molecular Therapy 掲載予定

## 審査結果の要旨

本研究はデュシェンヌ型筋ジストロフィーの新たな治療用ベクターの作製を目的に、HACベクターに2.4Mbのヒトジストロフィン遺伝子を搭載した（DYS-HAC）。このDYS-HACをマウスES細胞に導入し、ヒトジストロフィン遺伝子を持つキメラマウスを作製した。このマウスにおいて、多数のヒトジストロフィンアイソフォームが組織特異的に発現していることが確認された。また、DYS-HACをヒト不死化間葉系幹細胞に導入後、長期培養を行った結果、DYS-HACが独立に保持されていること、DYS-HAC上のGFP遺伝子が恒常的に発現していることが確認された。以上のことから、DYS-HACベクターが治療用ベクターとして有用である可能性を示した。本論文の内容は、筋ジストロフィーを含めた遺伝子再生治療の分野で、ヒト人工染色体を用いた新たな治療モデルの有用性を示唆するものであり、明らかに学術水準を高めたものと認める。