

平成25年 2月

矢倉裕奈 学位論文審査要旨

主 査 佐 藤 建 三
副主査 押 村 光 雄
同 岡 田 太

主論文

An induced pluripotent stem cell-mediated and integration-free factor VIII expression system

(人工多能性幹細胞を介した挿入のない第VIII因子発現システム)

(著者：矢倉裕奈、石原千恵、黒崎創、香月康宏、小松則夫、岡田欣晃、土井健史、
武谷浩之、押村光雄)

平成25年 Biochemical and Biophysical Research Communications 掲載予定

審査結果の要旨

本研究は、血友病の新規遺伝子治療法の開発を目的とし、センダイウイルスベクターを用いて宿主染色体への挿入のないiPS細胞を誘導し、ヒト人工染色体(HAC)ベクターを用いて血小板特異的なⅧ因子発現系の構築を行い、Ⅷ因子の発現を評価したものである。その結果、得られたⅧ因子搭載HACベクター保持iPS細胞は、免疫染色法とRT-PCR法により、ウイルスの残存がなく、未分化能を持つことが示され、キナクリン・ヘキスト染色とFISH法により、正常核型かつHACベクターが独立保持されていることが示された。巨核球/血小板に*in vitro*分化誘導した際にⅧ因子の発現が認められ、論文には載せていないが、キメラマウスの解析結果からも巨核球/血小板に特異的に発現することを確認した。本論文の内容は、根治療法のない血友病に対し、安全かつ有用な遺伝子治療法の確立の可能性を示唆しており、明らかに学術水準を高めたものと認める。