

- mouse spermatogenesis. *Dev Cell* 12: 1-12, 2007
31. Shiraishi S, Zhou C, Aoki T, Sato N, Chiba T, Tamura K, Yoshida S, Nabeshima Y, Nabeshima Y, Tamura T: TBP-interacting protein 120B (TIP120B)/Cullin-associated and Neddylation Dissociated 2 (CAND2) inhibit SCF-dependent ubiquitination of myogenin and accelerates myogenic differentiation. *J Biol Chem* 282: 9017-9028, 2007
  32. Tokunaga A, Oya T, Ishii Y, Motomura H, Nakamura C, Ishizawa S, Fujimori T, Nabeshima Y, Umezawa A, Kanamori M, Kimura T, Sasahara M: PDGF receptor beta is a potent regulator of mesenchymal stromal cell function. *J Bone Miner Res* 23: 1519-1528, 2008
  33. Fukada S, Uezumi A, Ikemoto M, Masuda S, Segawa M, Tanimura N, Yamamoto H, Miyagoe-Suzuki Y, Takeda S: Molecular Signature of Quiescent Satellite Cells In Adult Skeletal Muscle. *Stem Cells* 25: 2448-2459, 2007
  34. Hirasaka K, Kohno S, Goto J, Furochi H, Mawatari K, Harada N, Hosaka T, Nakaya Y, Ishidoh K, Obata T, Ebina Y, Gu H, Takeda S, Kishi K, Nikawa T: Deficiency of Cbl-b gene enhances infiltration and activation of macrophages in adipose tissue and causes peripheral insulin resistance in mice. *Diabetes* 56: 2511-2522, 2007
  35. Yuasa K, Yoshimura M, Urasawa N, Ohshima S, Howell JM, Nakamura A, Hijikata T, Miyagoe-Suzuki Y, Takeda S: Injection of a recombinant AAV serotype 2 into canine skeletal muscles evokes strong immune responses against transgene products. *Gene Ther* 14: 1249-1260, 2007.
  36. Suzuki N, Motohashi N, Uezumi A, Fukada SI, Yoshimura T, Itoyama Y, Aoki M, Miyagoe-Suzuki Y, Takeda S: NO production results in suspension-induced muscle atrophy through dislocation of neuronal NOS. *J Clin Invest* 117: 2468-2476, 2007.
  37. Ikemoto M, Fukada SI, Uezumi A, Masuda S, Miyoshi H, Yamamoto H, Wada MR, Masubuchi N, Miyagoe-Suzuki Y, Takeda S: Autologous Transplantation of SM/C-2.6 (+) Satellite Cells Transduced with Micro-dystrophin CS1 cDNA by Lentiviral Vector into mdx Mice. *Mol Ther* 15: 2178-2185, 2007
  38. Fukushima K, Nakamura A, Ueda H, Yuasa K, Yoshida K, Takeda S, Ikeda SI: Activation and localization of matrix metalloproteinase-2 and -9 in the skeletal muscle of the muscular dystrophy dog (CXMDJ). *BMC Musculoskelet Disord* 8: 54, 2007
  39. Oyama T, Nagai T, Wada H, Naito AT, Matsuura K, Iwanaga K, Takahashi T, Goto M, Mikami Y, Yasuda N, Akazawa H, Uezumi A, Takeda S, Komuro I: Cardiac side population cells have a potential to migrate and differentiate into cardiomyocytes in vitro and in vivo. *J Cell Biol* 176: 329-3241, 2007
  40. Suzuki N, Miyagoe-Suzuki Y, Takeda S: Gene Therapy for Duchenne Muscular Dystrophy *Future Neurology* 2: 87-96, 2006
  41. Uezumi A, Ojima K, Ikemoto M, Masuda S, Miyagoe-Suzuki Y, Takeda S: Functional heterogeneity of side population cells in skeletal muscle *Biochem Biophys Res Commun*, 341: 864-873, 2006
  42. Suzue N, Nikawa T, Onishi Y, Yamada C, Hirasaka K, Ogawa T, Furochi H, Kosaka H, Ishidoh K, Gu H, Takeda S, Ishimaru N, Hayashi Y, Yamamoto H, Kishi K, Yasui N: Ubiquitin ligase Cbl-b down-regulate bone formation through suppression of OGF-1 signaling in osteoblasts during denervation *J Bone Miner Res* 21: 722-734, 2006
  43. Yokota T, Lu QL, Morgan JE, Davies KE,

- Fisher R, Takeda S, Partridge TA:  
Expansion of revertant fibers in dystrophic mdx muscles reflects activity of muscle precursor cells and serves as an index of muscle regeneration. *J Cell Sci* 119: 2679-2687, 2006.
44. Shiga K, Yoshioka H, Matsumiya T, Kimura I, Takeda S, Imamura M: zeta-Sarcoglycan is a functional homologue of gamma-sarcoglycan in the formation of the sarcoglycan complex. *Exp Cell Res* 312: 2083-2092, 2006
45. Pramono ZA, Lai PS, Tan CL, Takeda S, Yee WC:  
Identification and characterization of a novel human dysferlin transcript: dysferlin\_v1. *Hum Genet* 120: 410-419, 2006
46. Yugeta N, Urasawa N, Fujii Y, Yoshimura M, Yuasa K, Nakamura A, Wada M, Nakura M, Shimatsu Y, Tomohiro M, Takahashi A, Machida N, Wakao Y, Takeda S:  
Cardiac involvement in Beagle-based canine X-linked muscular dystrophy in Japan (CXMD<sub>J</sub>): electrocardiographic, echocardiographic, and morphologic studies *BMC Cardiovasc Disord* 6:47, 2006
47. Ozawa K, Sato K, Oh I, Ozaki K, Uchibori R, Obara Y, Kikuchi Y, Ito T, Okada T, Urabe M, Mizukami H, Kume A:  
Cell and gene therapy using mesenchymal stem cells (MSCs). *J Autoimmun*; in press
48. Kobayashi M, Okada T, Murakami T, Ozawa K, Kobayashi E, Morita T:  
Tissue-targeted in vivo gene transfer coupled with histone deacetylase inhibitor depsipeptide (FK228) enhances adenoviral infection in rat renal cancer allograft model systems. *Urology* 70: 1230-1236, 2007
49. Ito T, Okada T, Miyashita H, Nomoto T, Nonaka-Sarukawa M, Uchibori R, Maeda Y, Urabe M, Mizukami H, Kume A, Takahashi M, Ikeda U, Shimada K, Ozawa K:  
Interleukin-10 Expression Mediated by an Adeno-Associated Virus Vector Prevents Monocrotaline-induced Pulmonary Arterial Hypertension in Rats. *Circ Res* 101: 734-741, 2007
50. Ito T, Okada T, Mimuro J, Miyashita H, Uchibori R, Urabe M, Mizukami H, Kume A, Takahashi M, Ikeda U, Sakata Y, Shimada K, Ozawa K:  
Adenoassociated virus-mediated prostacyclin synthase expression prevents pulmonary arterial hypertension in rats. *Hypertension* 50: 531-536, 2007
51. Liu Y, Okada T, Nomoto T, Ke X, Kume A, Ozawa K, Xiao S:  
Promoter effects of adeno-associated viral vector for transgene expression in the cochlea in vivo. *Exp Mol Med* 39: 170-175, 2007
52. Nakata M, Okada T, Ozawa K, Yada T:  
Resistin induces insulin resistance in pancreatic islets to impair glucose-induced insulin release. *Biochem Biophys Res Commun* 353: 1046-1051, 2007
53. Ideno J, Mizukami H, Kakehashi A, Saito Y, Okada T, Urabe M, Kume A, Kuroki M, Kawakami M, Ishibashi S, Ozawa K:  
Prevention of diabetic retinopathy by intraocular soluble flt-1 gene transfer in a spontaneously diabetic rat model. *Int J Mol Med* 19: 75-79, 2007
54. Takei Y, Mizukami H, Saga Y, Yoshimura I, Hasumi Y, Takayama T, Kohno T, Matsushita T, Okada T, Kume A, Suzuki M, Ozawa K:  
Suppression of ovarian cancer by muscle-mediated expression of soluble VEGFR-1/Flt-1 using adeno-associated virus serotype 1-derived vector. *Int J Cancer* 120: 278-284, 2007
55. Shimizu S, Kitada M, Ishikawa H, Itokazu Y, Wakao S, Dezawa M:  
Peripheral nerve regeneration by the in vitro differentiated-human bone marrow stromal cells with Schwann cell property.

- Biochem Biophys Res Commun** 359: 915-920, 2007
56. Yoshihara T, Ohta M, Itokazu Y, Matsumoto N, Dezawa M, Suzuki Y, Taguchi A, Watanabe Y, Adachi Y, Ikehara S, Sugimoto H, Ide C: Administration of Bone Marrow-Driven Mononuclear Cells After Spinal Cord Injury Suppresses Cavity Formation and is Followed by Functional Recovery. *J Neurotrauma* 24: 1026-1036, 2007
  57. Ishikawa N, Suzuki Y, Ohta M, Cho H, Suzuki S, Dezawa M, Ide C: Peripheral nerve regeneration through the space formed by a chitosan gel sponge. *J Biomed Mater Res A* 83: 33-40, 2007
  58. Dezawa M, Ishikawa H, Itokazu Y, Yoshihara T, Hoshino M, Takeda S, Ide C, Nabeshima Y: Bone marrow stromal cells generate muscle cells and repair muscle degeneration. *Science* 309: 314-317, 2005
  59. Takeuchi R, Saito T, Ishikawa H, Takigami H, Dezawa M, Ide C, Itokazu Y, Ikeda M, Shiraishi T, Morishita S: Effects of vibration and hyaluronic acid on activation of three-dimensional cultured chondrocytes. *Arthritis Rheum* 54:1897-1905, 2006
  60. Zhao MZ, Nonoguchi N, Ikeda N, Watanabe T, Furutama D, Miyazawa D, Funakoshi H, Kajimoto Y, Nakamura T, Dezawa M, Shibata MA, Otsuki Y, Coffin RS, Liu WD, Kuroiwa T, Miyatake SI: Novel therapeutic strategy for stroke in rats by bone marrow stromal cells and ex vivo HGF gene transfer with HSV-1 vector. *J Cereb Blood Flow Metab* 26: 1176-1188, 2006
  61. Yu S, Tanabe T, Dezawa M, Ishikawa H, Yoshimura N: Effects of bone marrow stromal cell injection in an experimental glaucoma model. *Biochem Biophys Res Commun* 16; 344: 1071-1079, 2006
  62. Itokazu Y, Kitada M, Dezawa M, Mizoguchi A, Matsumoto N, Shimizu A, Ide C: Choroid plexus ependymal cells host neural progenitor cells in the rat. *Glia* 53: 32-42, 2006
  63. Xu Y, Kitada M, Yamaguchi M, Dezawa M, Ide C: Increase in bFGF-responsive neural progenitor population following contusion injury of the adult rodent spinal cord. *Neurosci Lett* 397: 174-179, 2006
- 【和文原著】
1. 北秀樹, 中村昭則, 市川慎一, 八幡由美子, 小林正典, 弓削田直子, 武田伸二: 筋ジストロフィー犬(CXMD)の飼育管理における胃内カテーテル投与方法およびハンド・フィーディング法の有用性, 実験動物技術 43: 17-24, 2008
- 【著書】
1. Okada T, Takeda S: Gene therapy for Duchenne muscular dystrophy. in A Guide to Human Gene Therapy (ed. by Roland W. Herzog and Sergei Zolotukhin), *World Scientific*, NJ; in press
  2. Miyagoe-Suzuki Y, Uezumi A, Takeda S: Side population (SP) cells and skeletal muscle differentiation Recent Advances of Skeletal Muscle Differentiation Editors: Kunihiro Tsuchida and Shin'ichi Takeda. *Research Signpost* 378/661(2) Fort P.O., Trivandrum-695 023, Kerala, India, 61-78, 2008
  3. 武田伸一: 筋ジストロフィー治療法研究の進歩 ころの健康科学研究の現状と課題 II.3.3: 315-327, 2007
  4. 武田伸一: ジストロフィン欠損における新たな分子態小児神経学の進歩 第36集, 132-138, 2007
  5. 出澤真理: 骨髄間葉系細胞からの骨格筋細胞の誘

導, 田畑泰彦編, 遺伝子医学 MOOK :  
メディカルドゥ社, pp.46-49, 2008

6. 出澤真理:  
骨髄間葉系細胞からの神経細胞の誘導,  
田畑泰彦編, 遺伝子医学 MOOK : メ  
ディカルドゥ社, pp.54-56, 2008.
- 【総説】
1. 矢田英理香, 武田伸一:  
iPS 細胞を用いた筋ジストロフィー治  
療の展望 難病と在宅ケア in press,  
2009
  2. 小林正典, 武田伸一:  
筋ジストロフィーの遺伝子治療. 総合  
リハビリテーション 36: 1043-1049,  
2008
  3. 齊藤崇, 武田伸一:  
高齢者の筋ジストロフィー/多発性筋  
炎のケア Modern Physician: 28, 656-660,  
2008
  4. 笠原優子, 岡田尚巳, 武田伸一:  
ウイルスベクターを用いた筋ジスト  
ロフィーの治療法開発 医学のあゆみ  
226: 379-383, 2008
  5. 武田伸一:  
デュシェンヌ型筋ジストロフィーの治  
療 財団法人 精神・神経科学振興財団  
News Letter No.3, 2008
  6. 吉村まどか, 武田伸一:  
筋ジストロフィー・ミオパチー 総合臨  
床 57: 606-608, 2008
  7. 湯浅勝敏, 土方貴雄, 武田伸一:  
筋ジストロフィーの遺伝子治療にお  
ける骨格筋への遺伝子デリバリー  
*Drug Delivery System* 22: 140-147, 2007
  8. 本橋紀夫, 武田伸一:  
筋肉の再生 THE BONE 21: 61-64, 2007
  9. 辛鎮洪, 武田伸一:  
筋ジストロフィーの治療戦略 BRAIN  
and NERVE 59(4): 415-424, 2007
  10. 武田伸一:  
国立精神・神経センターにおける筋ジ  
ストロフィー研究の成果 週刊社会保  
障, No.2426: 31, 2007
  11. 西山章代, 武田伸一:  
骨格筋への *in vivo* 遺伝子導入 バイオ  
テクノロジージャーナル 7: 183-187,  
2007
  12. 岡田尚巳, 武田伸一:  
遺伝子導入 筋ジストロフィー現在と  
未来 Clinical Neuroscience 26: 204-206,  
2008.
  13. 深田宗一郎, 鈴木 友子, 武田 伸一:  
筋ジストロフィーの治療とケア: 筋衛  
星細胞の維持 活性化と自己複製の  
制御機構. 難病と在宅ケア 14: 50-52,  
2008
  14. 岡田尚巳:  
癌幹細胞の同定法 がん転移研究の実  
験手法, 311-317, 2008
  15. 岡田尚巳:  
間葉系幹細胞を利用した癌遺伝子治療  
最新医学 63 巻 12号, 64-71, 2008
  16. Okada T, Ozawa K:  
Vector-producing tumor-tracking  
multipotent mesenchymal stromal cells  
for suicide cancer gene therapy. *Front  
Biosci* 13: 1887-1891, 2008
  17. Ozawa K, Sato K, Oh I, Ozaki K,  
Uchibori R, Obara Y, Kikuchi Y, Ito T,  
Okada T, Urabe M, Mizukami H, Kume  
A:  
Cell and gene therapy using mesenchymal  
stem cells (MSCs). *J Autoimmun* 30:  
121-127, 2008
  18. Okada, T:  
Vector-producing mesenchymal stem  
cells for cancer gene therapy. *Gene  
Therapy and Cancer Research Focus*;  
in press
  19. 国府田正雄, 出澤真理:  
骨髄間葉系細胞を用いた脊髄損傷修復  
の試み 脳21 10: 144-147, 2007
  20. 石川裕人, 出澤真理:  
視神経移植とは 「視覚と眼球運動の  
すべて」メディカルビュー社 p.216-221,  
2007
  21. 出澤真理:  
骨髄間葉系細胞を用いた筋ジストロフ  
イーへの再生医療の可能性 BRAIN  
and NERVE- 神経研究の進歩 59:  
503-508, 2007
  22. 出澤真理:  
骨髄間葉系細胞からの神経・骨格筋  
系細胞の誘導 再生医療 16: 19-25  
2007

23. 北田容章, 出澤真理:  
神経・筋変性疾患における細胞移植治療; 骨髄間葉系細胞を用いた自己細胞移植への可能性, *Clin Neurosci*; in press
24. 出澤真理:  
筋ジストロフィーと細胞移植治療, *医学のあゆみ* 226: 393-396, 2008
25. 出澤真理:  
骨髄間葉系細胞を用いた神経筋疾患治療の可能性, *最新医学* 63: 55-63, 2008
26. Dezawa M, Nabeshima Y-I:  
Transdifferentiation systems in bone marrow stromal cells and its application to muscle dystrophy: Insights into cell-based therapy. "Recent Advances of Skeletal Muscle Differentiation" in *Research Signpost*; in press
27. Dezawa M:  
Induction system of neuronal and muscle cells from bone marrow stromal cells and applications for degenerative diseases. *Inflammation and Regeneration*, 27: 96-101, 2007
28. Dezawa M:  
The unexpected discovery of neuronal and muscle induction systems in bone marrow stromal cells; insights into auto-transplantation therapy *Medical Molecular Morphology* 41: 14-19, 2008
29. Kidata M & Dezawa M:  
Differentiation system of neural and muscle lineage cells from bone marrow stromal cells; a new strategy for tissue reconstruction in degenerative diseases. *Histology and Histopathology*, in press
30. 出澤真理:  
骨髄間質細胞からの神経細胞, 骨格筋細胞への選択的誘導と自己細胞システムを目指した開発 顕微鏡, 41: 200-203, 2006
31. 出澤真理:  
思わぬ発見のもたらした分化誘導システム; 骨髄間質細胞を用いた自己細胞移植治療への挑戦. *BIO Clinica*, 21: 81-87, 2006
32. 出澤真理:  
筋ジストロフィーの再生医療への展望 *BRAIN and NERVE-神経研究の進歩*; in press
33. 出澤真理:  
胚葉をこえた多分化能と自己細胞移植治療への可能性 蛋白質核酸酵素 シリーズ「幹細胞技術の現状と展望」52: 158-165, 2007
34. 出澤真理, 鍋島陽一:  
骨髄間質細胞からの筋細胞の誘導: 自己細胞移植治療の実現化に向けて, *医学のあゆみ* 216: 188-190, 2006
35. 出澤真理, 鍋島陽一:  
自己細胞移植治療の実現化に向けて: 骨髄間質細胞を用いた筋細胞の誘導, *難病と在宅ケア* 11: 56-59, 2006
36. 出澤真理:  
骨髄間質細胞からの神経およびグリア細胞の選択的誘導と神経再生への応用, *脳神経外科* 33: 645-649, 2005
37. 出澤真理 細胞移植をもちいた末梢神経再生への挑戦と未来展望 *臨床神経学* 45: 877-879, 2005
38. 出澤真理, 鍋島陽一 自己細胞移植治療に向けて: 骨髄間質細胞を用いた筋細胞の誘導, *実験医学* 23: 2811-2814, 2005.
39. Yoshida S, Nabeshima Y, Nakagawa T:  
Stem Cell Heterogeneity: Actual and potential stem cell compartments in the mouse spermatogenesis. *Ann NY Acad Sci PMID* 17: 905-929, 2007

## II. 学会発表

<国外>

1. Imamura M, S. Takeda:  
Analysis of Allele-Specific Expression of the Mouse  $\epsilon$ -Sarcoglycan Gene, 48<sup>th</sup> Annual Meeting of the American Society for Cell Biology, San Francisco, CA, USA, 13-17 December, 2008
2. Takeda S:  
Characterization of adult progenitor cells in skeletal muscle, 8<sup>th</sup> International Conference, The biology of stem cells, Institut des Cordeliers, Paris, France, 27-28<sup>th</sup> November 2008
3. Takeda S:  
Management of DMD in Japan, Seminar

- at Santhera Pharmaceuticals, Basel, Switzerland, 26 November 2008
4. Takeda S:  
The 1<sup>st</sup> Scientific Council Meeting of the Institute Myology, University Pierre et Marie Curie Paris 6, Pitie-Salpetriere Hospital, France, 4 November 2008
  5. Takeda S:  
The significance of multi-exon skipping of the dystrophin gene by Morpholino treatment, Oligonucleotide-directed splicing: Therapeutic Strategies, Cold Spring Harbor Laboratory, 14-17 October 2008
  6. Kobayashi M, Nakamura A, Hasegawa D, Orima H, Takeda S:  
Noninvasive evaluation of necrotic change in canine X-linked muscular dystrophy in Japan (CXMDJ) by fat-suppressed T2-weighted imaging. 13th International Congress of the World Muscle Society, Newcastle Gateshead, UK, 29 September-2 October, 2008
  7. Takeda S:  
Muscle progenitor cells in skeletal muscle: their functions and potencies in therapy. The molecular and cellular mechanisms regulating skeletal muscle development and regeneration, First EMBO Conference, Sant Feliu de Guixols, Spain, 9.24-29, 2008
  8. Miyagoe-Suzuki Y, Masubuchi N, Miyamoto K, Wada MR, Endo T, Takeda S:  
Abnormal glycosylation of alpha-dystroglycan results in poor proliferation and limited migration of muscle satellite cells. 6<sup>th</sup> International Society for Stem Cell Research Annual Meeting 2008. June 11, 2008. Pennsylvania Convention Center, Philadelphia, PA, USA
  9. Shin JH, Ohshima S, Yuko K, Okada T, Takeda S:  
Improvement of cardiac conduction abnormalities by rAAV9-mediated microdystrophin transduction in mdx mice. The 14th Annual meeting of Japan Society of Gene Therapy, Sapporo, June 13, 2008
  10. Ohshima S, Shiin JH, Nishiyama A, Yuasa K, Kasahara Y, Okada T, Takeda S:  
Effective Transduction of Dystrophic Dogs with rAAV Serotype 8, Oral abstract session, 11<sup>th</sup> Annual Meeting, American Society of Gene Therapy, Boston, Massachusetts, USA, 5.28-6.1, 2008
  11. Yokota T, Lu QL, Partridge TA, Kobayashi M, Nakamura A, Takeda S, Hoffman EP:  
Body-wide Restoration of Dystrophin Expression and Amelioration of Pathology in Dystrophic Dogs Using a Morpholino Cocktail Presentation of the top abstracts, special plenary session, 11<sup>th</sup> Annual Meeting, American Society of Gene Therapy, Boston, Massachusetts, USA, 5.28-6.1, 2008
  12. Takeda S:  
Characterization of adult progenitor cells in skeletal muscle, Plenary Lectures, Myology 2008, Marseille, France, 5.26-30, 2008
  13. Nakamura A, Takeda S:  
MRI imaging, Clinical trial endpoints discussions, Annual Meeting Muscular Dystrophy Programs, Washington DC, March, 2008
  14. Suzuki Y, Ito M, Okada T, Takeda S, Fukudome T, Yoshimura T, Krejci E, Ohno K:  
Recombinant extracellular matrix protein expressed in a limited number of cells propagates to the target organ throughout the body using its nascent tissue-targeting signal. 13th Congress of the International Federation of Societies for Histochemistry and Cytochemistry, Gdansk, Poland Aug 23-27, 2008
  15. Nishiyama A, Ampong BN, Shin JH, Nakai H, Okada T, Takeda S:  
rAAV Type 8-Mediated Extensive Therapeutic Gene Delivery into Skeletal Muscle of  $\alpha$ -Sarcoglycan Deficient Mice. 10th Annual Meeting of the American Society of Gene Therapy in Seattle, WA, May 30-Jun 3, 2007

16. Ohshima S, Shin JH, Nishiyama A, Yuasa K, Nakai H, Okada T, Takeda S: Distinct Transduction Profiles in the Dystrophic Dogs with rAAV Serotype 8 10th Annual Meeting of the American Society of Gene Therapy in Seattle, WA, May 30-Jun 3, 2007
17. Suzuki N, Mtohashi N, Miyagoe-Suzuki Y, Yoshimura T, Itoyama Y, Aoki M, Takeda T: Nitric oxide production results in disuse-induced muscle atrophy through dislocation of neuronal nitric oxide synthase. 7th Japanese-French Workshop "Development of Molecular Therapy toward Muscular Dystrophy", 8-9 June 2007
18. Takeda S: AAV vector-mediated approaches to dystrophic dogs. 7th Japanese-French Workshop "Development of Molecular Therapy toward Muscular Dystrophy", 8-9 June 2007
19. Takeda S: Pre-clinical evidence from animal models-What preclinical evidence is needed from animal models to proceed to clinical trial: grip strength, exercise: physiological measurements? Treat-NMD workshop for "Outcome measures for experimental studies in Duchenne muscular dystrophy" in Naarden (Amsterdam)-The Netherlands, Jun 30-July 1, 2007
20. Takeda S: Molecular signature of quiescent satellite cells and their potential as a therapeutic tool for muscular dystrophy FASEB Summer Research Conference in Indian Wells, California, July 14-19, 2007 Skeletal muscle Satellite and Stem Cells
21. Miyagoe-Suzuki Y, Mtohashi N, Uezumi A, Yada E, Fukada S, Imaizumi K, Takeda S: Co-transplantation of muscle-derived side population (SP) cells with myoblasts promoted the muscle regeneration. FASEB Summer Research Conference in Indian Wells, California, July 14-19, 2007 Skeletal muscle Satellite and Stem Cells
22. Yada E, Mtohashi N, Miyagishi M, Harano C, Miyagoe-Suzuki Y, Takeda S: Hdac II regulates differentiation of satellite cells. FASEB Summer Research Conference in Indian Wells, California, July 14-19, 2007. Skeletal muscle Satellite and Stem Cells
23. Yoshimura, M; Nakamura, A; Kobayashi, M; Takeda, S: Deflazacort induced severe skeletal muscle wasting and inguinal herniation in normal Beagle dogs. 12th International Congress of the World Muscle Society. Giardini Naxos-Taormina, Italy 17-20 October, 2007
24. Partridge, T Yokota T, Lu Q, Hoffman E, Alter J, Takeda S, Kobayashi M, Nakamura A: Systemic delivery of morpholino oligonucleotides to skip mutations in the dystrophin gene of the mouse and dog. 12th International Congress of the World Muscle Society, Giardini Naxos-Taormina, Italy 17-20 October, 2007
25. Miyagoe-Suzuki Y, Miyamoto K, Saito F, Matsumura K, Many H, Endo T, Takeda S: POMGnT1-null myoblasts poorly proliferate in vitro. 12th International Congress of the World Muscle Society. Giardini Naxos-Taormina, Italy 17-20 October, 2007
26. Ohshima S, Shin JH, Nishiyama A, Yuasa K, Nakai H, Nakamura A, Okada T, Takeda S: Transduction profile and immune response in the dystrophic dogs with rAAV serotype 8. The XV Annual Congress of the European Society of Gene and Cell Therapy, Rotterdam, The Netherlands, October 27 - 30, 2007
27. Nishiyama A, Ampong BN, Shin JH, Nakai H, Okada T, Takeda S:

- Extensive  $\alpha$ -sarcoglycan expression by intramuscular and intravenous administration of rAAV type 8. The XV Annual Congress of the European Society of Gene and Cell Therapy, Rotterdam, The Netherlands, October 27 – 30, 2007
28. Takeda S: Muscle stem cells in muscle regeneration, Symposium "From transcription factor to gene therapy" Medical Research Center for Ischemic Tissue Regeneration, Pusan National University, Pusan, Korea, Nov.8, 2007
29. Takeda S: Progress in gene therapy approaches to dystrophin deficient Duchenne muscular dystrophy (DMD), Symposium "Advances in Gene Therapy", at Medical Research Institute, Pusan National University Hospital, Pusan, Korea, Nov.9, 2007
30. Nakamura A, Takeda S: MRI imaging, Clinical trial endpoints discussions, Annual Meeting Muscular Dystrophy Programs, Washington DC, March 2008
31. Aoki Y, Takeda S: Multi-exon skipping, Pre-clinical discussion of potential interventions, Annual Meeting Muscular Dystrophy Programs, Washington DC, March, 2008
32. Ito T, Okada T, Mimuro J, Nakata M, Uchibori R, Urabe M, Mizukami H, Kume A, Sakata Y, Yada T, Shimada K, Ozawa K.: AAV vector-mediated sustained expression of prostacyclin synthase ameliorates obesity in Zucker fatty rats. American Society of Gene Therapy's 10<sup>th</sup> Annual Meeting, Seattle, WA, USA, May 30-June 3, 2007
33. Uchibori R, Okada T, Ito T, Matsushita T, Urabe M, Mizukami H, Kume A, Ozawa K.: Retroviral producing mesenchymal stem cells for tumor tracking and therapeutic gene amplification as systemic suicide cancer gene therapy. American Society of Gene Therapy's 10<sup>th</sup> Annual Meeting, Seattle, WA, USA, May 30-June 3, 2007.
34. Muramatsu S, Nishida H, Nara Y, Takino N, Asari S, Kodera M, Xiao W, Sasaki Y, Kikuchi S, Matsushita T, Okada T, Hoshi M, Nakano I, Ozawa K.: AAV8 Vectors Transduce Oligodendrocytes Efficiently. American Society of Gene Therapy's 10<sup>th</sup> Annual Meeting, Seattle, WA, USA, May 30-June 3, 2007.
35. Kume A, Matsushita A, Mizukami H, Urabe M, Okada T, Ozawa K.: Long-Term Efficacy of a Self-complementary Adeno-Associated Virus Vector for Phenylketonuria Gene Therapy. American Society of Gene Therapy's 10<sup>th</sup> Annual Meeting, Seattle, WA, USA, May 30-June 3, 2007
36. Ito, T., Okada, T., Mimuro, J., Nakata, M., Uchibori, R., Urabe, M., Mizukami, H., Kume, A., Sakata, Y., Yada, T., Shimada, K., and Ozawa, K.: Sustained expression of prostacyclin synthase by an intramuscular injection of an AAV vector attenuates obesity in Zucker fatty rats. The 13th Annual meeting of Japan Society of Gene Therapy, Nagoya, June 28-30, 2007.
37. Uchibori, R., Okada, T., Ito, T., Matsushita, T., Urabe, M., Mizukami, H., Kume, A., and Ozawa, K.: Tumor tracking and therapeutic gene amplification by using retroviral vector-producing mesenchymal stem cells for reinforcement of suicide cancer gene therapy. The 13th Annual meeting of Japan Society of Gene Therapy, Nagoya, June 28-30, 2007.
38. Takeda S: The canine muscular dystrophy testing facility, Wellstone High Throughput Screening (HTS) Workshop. Children's National Medical Center (CNMC), Washington D.C., April 18, 2006
39. Takeda S: Muscle stem cells and muscle regeneration. Seminar in Research Center



- for Genetic Medicine, Children's National Medical Center, Washington D.C., April 19, 2006
40. Suzuki N, Motohashi N, Uezumi A, Fukada S, Miyagoe-Suzuki Y, Yoshimura T, Itoyama Y, Aoki M, Takeda S: Dislocated neuronal nitric oxide synthase controls myofiber size during tail suspension. Vth Asian and Oceanian Myology Center Meeting in Cebu, Philippines, May 25-27, 2006
  41. Ikemoto M, Fukada S, Uezumi A, Masuda S, Ampong BN, Miyoshi H, Yamamoto H, Miyagoe-Suzuki Y, Takeda S: Transplantation of SM/c-2.6+ satellite cells transduced with micro-dystrophin CSI cDNA by lentiviral vector into mdx mice. American Society of Gene Therapy, Baltimore, June 1, 2006
  42. Takeda S: Gene therapy in canine muscular dystrophy. Symposium, XIth International Congress on Neuromuscular Diseases Istanbul, Turkey, July 3, 2006
  43. Nishikawa M, Hirata K, Machida K, Takahashi Y, Yuasa K, Takeda S, Takakura Y: Increased transgene expression of dystrophin in mdx muscle by RNAi-mediated silencing of calpain expression. American Society of Gene Therapy, Baltimore, June 1, 2006
  44. Suzuki N, Motohashi N, Uezumi A, Fukada S, Miyagoe-Suzuki Y, Yoshimura T, Itoyama Y, Aoki M, Takeda S: Dislocated neuronal nitric oxide synthase results in muscle atrophy during tail suspension. XIth International Congress of the World Muscle Society, Bruges, Belgium, October 4-7, 2006
  45. Yokota T, Qi Lu, Partridge T, Nakamura A, Takeda S, Hoffman E: Antisense morpholino injection restores extensive dystrophin expression to potentially therapeutic levels in canine muscular dystrophy in vivo. XIV Annual Congress of the European Society of Gene Therapy, Athens, Greece, November 9-12, 2006
  46. Ohshima S, Shin J, Nishiyama A, Yuasa K, Nakamura A, Miyagoe-Suzuki Y, Nakai H, Takeda S: A recombinant serotype 8 AAV-mediated gene transfer into canine skeletal muscle XIV Annual Congress of the European Society of Gene Therapy, Athens, Greece, November 9-12, 2006
  47. Nishiyama A, Ampong B, Kinoshita K, Nakai H, Takeda S: Efficacy of adeno-associated virus serotype 8 in gene delivery into skeletal muscle of alpha-sarcoglycan deficient mice. XIV Annual Congress of the European Society of Gene Therapy, Athens, Greece, November 9-12, 2006
  48. Takeda S: The NCNP dog facility. Wicker Project Workshop: Exon skipping in Muscular Dystrophy Workshop, Washington D.C., Jan 7-8, 2007
  49. Takeda S: An adeno-associated virus-mediated gene transfer into canine X-linked muscular dystrophy in Japan (CXMD<sub>1</sub>) AFM Workshop, Evry, France, Jan 15-17, 2007
  50. Ito M, Suzuki Y, Okada T, Fukudome T, Masuda A, Yoshimura T, Takeda S, Krejci E, Ohno K: Adeno-associated virus serotype 8-mediated targeting of asymmetric acetylcholinesterase to the synaptic basal lamina at the neuromuscular junction. 38th Annual Meeting, Society for Neuroscience, Washington DC, USA Nov 15-19, 2008
  51. Ito M, Suzuki Y, Okada T, Fukudome T, Yoshimura T, Masuda A, Takeda S, Krejci E, Ohno K: rAAV8-mediated protein anchoring of asymmetric acetylcholinesterase to the synaptic basal lamina at the neuromuscular junction. The ASCG 48th annual meeting, San Francisco LA, USA, Dec 13-17, 2008
  52. Dezawa M:

- Insights into autotransplantation: the discovery of specific induction systems in bone marrow stromal cells. Chicago Neural Repair Club, Children's Memorial Research Center, Northwestern Univ., Chicago, April, 2008
53. Dezawa M: A challenge to auto-transplantation in neuro- and muscle-degenerative diseases, The 21st Chinese SCI Academic Annual Meeting & The 3rd International SCI Treatments & Trials Symposium, Beijing, China, October, 2008
54. Dezawa M: A challenge to auto-transplantation in neuro- and muscle-degenerative diseases: the discovery of specific induction systems in bone marrow stromal cells, Adult Stem Cells-Biology and Clinical Applications Conference, Brisbane, Australia, November, 2008
55. Dezawa M: Bone marrow stromal cells for auto-cell transplantation therapy: applications for neuro- and muscle-degenerative diseases. The 5<sup>th</sup> Asia-Pacific Symposium on Neural Regeneration, Shanghai, China, 2006, December.
56. Dezawa M. A challenge to auto-cell transplantation therapy using bone marrow stromal cells. The ht4 Catholic International Stem Cell Symposium, Seoul, Korea, 2006, July
57. Dezawa M: Specific induction of Schwann cells, neurons and skeletal muscle cells from bone marrow stromal cells and application for degenerative diseases. FASEB meeting, San Francisco USA, 2006, April
58. Dezawa M. Specific induction system of neurons, Schwann cells and skeletal muscle cells and application for neuro- and muscle-degenerative diseases. International Symposium on Healthy Aging: A Global Challenge for the 21<sup>st</sup> Century, Hong Kong, 2006. March,
59. Dezawa M: A challenge to auto-cell transplantation: based on specific induction system of bone marrow stromal cells. 8<sup>th</sup> International Congress of Neuroimmunology, Nagoya, 2006, October
60. Dezawa M: Bone marrow stromal cells: applications for neuro-degenerative, neuro-traumatic and muscle degenerative diseases. 5<sup>th</sup> International Symposium on Tumor Biology in Kanazawa, Kanazawa, 2006, January.
- <国内>
1. 本橋 紀夫, 矢田 英理香, 鈴木 友子, 武田 伸一: Mdx マウスからの iPS 細胞の樹立と骨格筋への分化誘導法の検討, 第 8 回日本再生医療学会総会, 東京, 3.5, 2009
  2. Takeda S: The advance of molecular therapy research on dystrophin-deficient muscular dystrophy, 50th Anniversary Symposium. Discovery of Serum Creatine Kinase as a Diagnostic Marker of Muscular Dystrophy, Tokyo, 1.10, 2009
  3. 武田 伸一, 辛 鎮洪, 笠原 優子, 喜納 裕美, 岡田 尚巳: 9 型 AAV ベクターを用いた mdx マウス心筋へのマイクロ・ジストロフィン遺伝子導入と心電図異常の改善 平成 20 年度厚生労働省精神・神経疾患研究委託費、筋ジストロフィー総合班会議, 東京, 1.9, 2009
  4. 武田 伸一, 青木 吉嗣, 横田 俊文, 齊藤 崇, 中村 昭則: mdx52 マウスを用いたモルフォリンによるジストロフィン遺伝子エクソン 51 スキッピングの前臨床研究 平成 20 年度厚生労働省精神・神経疾患研究委託費、筋ジストロフィー総合班会議, 東京, 1.9, 2009
  5. 大野 欽司, 伊藤 美佳子, 鈴木 優美, 岡田 尚巳, 武田 伸一, 福留 隆泰, 吉村 俊朗, Eric Krejci: Protein anchoring therapy による終板 acetylcholinesterase 欠損症治療 平成

- 20年度厚生労働省精神・神経疾患研究委託費、筋ジストロフィーおよびその関連疾患の分子病態解明、診断法確立と薬物治療の開発に関する研究、研究班会議、東京、12.15, 2009
6. 武田伸一:  
nNOSは筋萎縮と筋肥大を制御するメカノセンサーである、シンポジウム、メカニカルストレスに対する筋・骨格系の応答の分子機構、第31回日本分子生物学会年会、神戸、12.12, 2008
  7. 伊藤尚基, Beryl Nyamekye Ampong, 工藤明, 鈴木友子, 武田伸一:  
神経型一酸化窒素合成酵素はAktシグナルを介して筋肥大の進行を制御している、一般口頭発表 2T13-5. ポスター発表 2P-0338. 第31回日本分子生物学会年会・第81回日本生化学会大会 合同大会、神戸、12.10, 2008
  8. 武田伸一, 矢田英理香, 本橋紀夫, 鈴木友子:  
mdxマウスからのiPS細胞の樹立とその筋分化能の検討、厚生労働省精神・神経疾患研究委託費「筋ジストロフィーに対する治療研究を臨床に展開するための統括的研究」(主任研究者:武田伸一)平成20年度班会議、東京、12.4, 2008
  9. 横田俊文, Qi-long Lu, Terence Partridge, 小林正典, 浦澤延幸, 中村昭則, Ryszard Kole, Peter Szani, Hong Moulton, Eric Hoffman, 武田伸一:  
アンチセンス・モルフォリノを用いた筋ジストロフィー治療の試み、厚生労働省精神・神経疾患研究委託費「筋ジストロフィーに対する治療研究を臨床に展開するための統括的研究」(主任研究者:武田伸一)平成20年度班会議、東京、12.3-4, 2008
  10. 武田伸一, 青木吉嗣, 横田俊文, 齊藤崇, 中村昭則:  
mdx52マウスを用いたモルフォリノによるジストロフィン遺伝子エクソン51スキッピングの前臨床研究、厚生労働省精神・神経疾患研究委託費「筋ジストロフィーに対する治療研究を臨床に展開するための統括的研究」(主任研究者:武田伸一)平成20年度班会議、東京、12.3-4, 2008
  11. 裏出良博, 有竹浩介, 林正裕, 鎌内慎也, エリザベス・コー・三田村, 永田奈々恵, 武田伸一, 中村昭則:  
筋ジストロフィーの進行性軽減療法の開発-プロスタグランジンD合成酵素をターゲットとした筋ジストロフィーの2次炎症軽減療法の開発、厚生労働省精神・神経疾患研究委託費「筋ジストロフィーに対する治療研究を臨床に展開するための統括的研究」(主任研究者:武田伸一)平成20年度班会議、東京、12.3-4, 2008
  12. 万年英之, 松本大和, 笹崎晋史, 藤原哲, 市原伸恒, 菊池建機, 中村昭則, 武田伸二:  
ニワトリ筋ジストロフィー原因遺伝子に関する検討-WWP1関連蛋白質に対する発現解析、厚生労働省精神・神経疾患研究委託費「筋ジストロフィーに対する治療研究を臨床に展開するための統括的研究」(主任研究者:武田伸一)平成20年度班会議、東京、12.3-4, 2008
  13. 高橋明男, 中村昭則, 小林正典, 武田伸一:  
筋ジストロフィーの確立・維持と病態解析-筋ジストロフィー犬新生子劇症型の病態機序に関する検討、厚生労働省精神・神経疾患研究委託費「筋ジストロフィーに対する治療研究を臨床に展開するための統括的研究」(主任研究者:武田伸一)平成20年度班会議、東京、12.3-4, 2008
  14. 吉田幹晴, 谷端淳, 本橋紀夫, 矢田英理香, Matthias Mueller, 武田伸一:  
BL/6マウス骨格筋のグリセリンによる再生誘導と脂肪細胞、厚生労働省精神・神経疾患研究委託費「筋ジストロフィーおよびその関連疾患の分子病態解明、診断法確立と薬物治療の開発に関する研究」(主任研究者:砂田芳秀)平成20年度班会議東京、12.15, 2008
  15. 関口正幸, 和田圭司, 山本和弘, 高橋明男, 吉田幹晴, 武田伸一:  
ジストロフィン欠損マウス情動行動異常に対する治療研究-モルフォリノオリゴヌクレオチド脳内投与による行動

- 異常の軽減。厚生労働省精神・神経疾患研究委託費「筋ジストロフィーに対する治療研究を臨床に展開するための統括的研究」(主任研究者:武田伸一)平成20年度班会議東京,12.3,2008
16. 武田伸一,辛鎮洪,笠原優子,喜納裕美,岡田尚巳:  
9型AAVベクターを用いたmdxマウス心筋へのマイクロ・ジストロフィン遺伝子導入と心電図異常の改善平成20年度厚生労働省精神・神経疾患研究委託費、筋ジストロフィーに対する治療研究を臨床に展開するための統括的研究、研究班会議平成20年12月3日、東京
  17. 武田伸一:  
筋ジストロフィーに対する分子治療の展望、第62回国立病院総合医学会、11.22,2008
  18. 辛鎮洪,笠原優子,喜納裕美,岡田尚巳,武田伸一:  
9型AAVベクターを用いたmdxマウス心筋へのマイクロ・ジストロフィン遺伝子導入と心電図異常の改善第3回筋ジストロフィー治療研究合同発表会平成20年10月25日、山梨
  19. 矢田英理香,本橋紀夫,鈴木友子,武田伸一:  
MdxマウスからのiPS細胞の樹立とその筋分化能の検討、第3回筋ジストロフィー治療研究合同発表会、山梨、10.25,2008
  20. 武田伸一:  
筋ジストロフィー研究の進歩:ラボ・ベンチからベッド・サイドへ、第17回なにわ脳神経内科懇話会(なにわ会)、大阪、10.11,2008
  21. 武田伸一:  
筋ジストロフィーに対する新たな治療の進歩、第16回阪神小児神経筋疾患研究会、大阪、7.19,2008
  22. 中村昭則,武田伸一:  
モルフォリノを用いた筋ジストロフィーに対する新しい治療、第5回筋ジストロフィー市民公開講座、東京、6.14.2008
  23. Kasahara Y,Nishiyama A,Shin JH,Ohshima S,Okada T,Takeda S:  
Myogenic differentiation of mesenchymal stem cell and cell therapeutic approach for Duchenne muscular dystrophy. The 14th Annual meeting of Japan Society of Gene Therapy, Sapporo, June 14, 2008.
  24. 辛鎮洪,大島幸子,笠原優子,岡田尚巳,武田伸一:  
Improvement of cardiac conduction abnormalities by rAAV9-mediated microdystrophin transduction in mdx mice, 第14回日本遺伝子治療学会,6.13,2008
  25. 武田伸一:  
筋ジストロフィーの治療に向けて、筋ジストロフィー協会神奈川県総会、横浜、6.8.2008
  26. 武田伸一:  
Gene Therapy for Muscular Dystrophy, 第50回日本小児神経学会総会、東京、5.28.2008
  27. 武田伸一:  
筋ジストロフィーに対する分子治療の現況、第49回日本神経病理学会総会学術研究科、東京、5.20.2008
  28. 武田伸一:  
筋ジストロフィーに対する治療研究を臨床に展開するための統括的研究、第45回日本筋ジストロフィー協会全国大会、東京、5.18.2008
  29. 増渕菜弥,宮本香織,和田倫子,花岡和則,遠藤玉夫,鈴木友子,武田伸一:  
alpha-ジストログリカンのO-マンノース型糖鎖修飾は骨格筋幹細胞の増殖と移動に重要である、第6回幹細胞シンポジウム、東京、5.16.17.2008
  30. 青木吉嗣,武田伸一:  
アンチセンス・モルフォリノによるジストロフィン遺伝子エクソン51スキッピングの試み、第49回日本神経学会総会、横浜、5.16.2008
  31. 福島和広,宮崎大吾,本橋紀夫,吉田邦広,中村昭則,鈴木友子,武田伸一,池田修一:  
骨格筋再生におけるmatrix metalloproteinase(MMP)-2,-9の役割の検討、第49回日本神経学会総会2008年5月15-17日、横浜
  32. 宮崎大吾,福島和広,中村昭則,吉田邦広,武田伸一,池田修一:

- ジストロフィン遺伝子 (DMD) exon 45-55 欠失例の臨床的、分子遺伝学的検討。第 49 回日本神経学会総会 2008 年 5 月 15-17 日, 横浜
33. 中村昭則, 小林正典, 武田伸一:  
MRI を用いた筋ジストロフィー犬の骨格筋障害の非侵襲的評価法の検討, 第 49 回日本神経学会総会, 横浜, 5.16.2008
34. 八幡由美子, 北秀樹, 小林正典, 市川慎一, 中山隆幸, 大島幸子, 辛鎮洪, 齊藤崇, 弓削田直子, 岡田尚巳, 中村昭則, 武田伸一:  
新生子筋ジストロフィー犬の呼吸筋障害の検討。第 55 回日本実験動物学会総会、第 42 回日本実験動物技術者公開総会 2008 年 5 月 15-17 日, 仙台
35. 武田伸一:  
筋ジストロフィーに対する遺伝子治療、神経難病と難病ネットワーク—あきらめしないで治療とケア— 第 27 回日本医学会総会, 大阪, 4.7, 2007
36. 武田伸一:  
筋ジストロフィーに対する治療の現状と未来 第 43 回筋ジストロフィー協会埼玉県大会, 埼玉, 4.29, 2007
37. 中村昭則, 武田伸一:  
筋ジストロフィー-1, 筋ジストロフィー犬を用いた Duchenne 型筋ジストロフィーの心筋傷害の発症機序の解明 第 48 回日本神経学会総会, 名古屋, 5.16-17, 2007
38. 大島幸子, 武田伸一:  
筋ジストロフィー-2, rAAV を用いた犬骨格筋への遺伝子導入効果の検討, 第 48 回日本神経学会総会, 名古屋, 5.16-17, 2007
39. 宮本香織, 花岡和則, 遠藤玉夫, 鈴木友子, 武田伸一:  
ラミニンと  $\alpha$ -dystroglycan の結合は骨格筋衛星細胞の増殖に必須である, 第 5 回幹細胞シンポジウム, 兵庫県, 5.17~19, 2007
40. 矢田英理香, 本橋紀夫, 宮岸真, 原野千加, 鈴木友子, 武田伸一:  
HDAC11 は筋衛星細胞の分化制御因子である 第 28 回日本炎症・再生医学会 平成 19 年 8 月 2-3 日
41. 本橋紀夫, 上住聡芳, 矢田英理香, 深田宗一郎, 今泉和彦, 鈴木友子, 武田伸一:  
骨格筋 Side population (SP)細胞は筋衛星細胞による筋再生を促進する 第 28 回日本炎症・再生医学会 平成 19 年 8 月 2-3 日
42. 宮本香織, 花岡和則, 遠藤玉夫, 鈴木友子, 武田伸一:  
ラミニンと  $\alpha$ -dystroglycan の結合は骨格筋衛星細胞の増殖に必須である 第 5 回幹細胞シンポジウム 平成 19 年 5 月 17 日~19 日
43. 本橋紀夫, 上住聡芳, 矢田英理香, 深田宗一郎, 今泉和彦, 鈴木友子, 武田伸一:  
骨格筋 Side Population (SP) 細胞は筋衛星細胞による筋再生を促進する 第 5 回幹細胞シンポジウム 平成 19 年 5 月 17 日~19 日
44. 矢田英理香, 本橋紀夫, 宮岸真, 原野千加, 鈴木友子, 武田伸一:  
HDAC11 は筋衛星細胞(骨格筋幹細胞)の分化制御因子である 第 5 回幹細胞シンポジウム 平成 19 年 5 月 17 日~19 日
45. 増淵菜弥, 宮本香織, 花岡和則, 遠藤玉夫, 鈴木友子, 武田伸一:  
ジストログリカンの糖鎖修飾は筋衛星細胞の増殖に必須である 第 30 回日本分子生物学会年会 平成 19 年 12 月 11 日~15 日
46. 鈴木友子:  
不動化に伴う筋萎縮の分子構造 第 1 回学際的に痛みを考える会国際フォーラム: シンポジウム II 「不動化と廃用に伴う痛みのメカニズムと治療」平成 19 年 12 月 1 日愛知医科大学
47. 鈴木友子, 武田伸一:  
骨格筋間葉系幹細胞の同定と筋衛星細胞との相互作用 日本横紋筋肉腫研究グループ (JRSG) 第 8 回研究会 平成 20 年 1 月 26 日
48. 武田伸一, 本橋紀夫, 上住聡芳, 矢田英理香, 深田宗一郎, 福島和広, 今泉和彦, 鈴木友子:  
骨格筋 Side Population (SP) 細胞は筋衛星細胞による筋再生を促進する 厚生

- 労働省精神・神経疾患研究委託費、筋ジストロフィーに対する治療研究を臨床に展開するための統括的研究 平成19年度 研究班会議 平成19年12月5日～6日
49. 本橋紀夫、上住聡芳、矢田英理香、深田宗一朗、福島和弘、今泉和彦、鈴木友子、武田伸一：  
骨格筋 Side population (SP) 細胞は筋衛星細胞による筋再生を促進する 第2回筋ジストロフィー治療研究会
50. 高橋明男、小林正典、中村昭則、武田伸一：  
MRIを用いた筋ジストロフィー犬の骨格筋障害の非侵襲的評価、平成19年度厚生労働省精神・神経疾患研究委託費、筋ジストロフィーに対する治療研究を臨床に展開するための統括的研究
51. 大澤真木子、斉藤崇、青木吉嗣、横田俊文、中村昭則、武田伸一：  
Duchenne型筋ジストロフィーの臨床研究に向けた antisense oligonucleotideを用いたエクソン・スキッピングのインビトロ解析 平成20年度厚生労働省精神・神経疾患研究委託費、筋ジストロフィーの臨床試験実施体制に構築に関する研究 平成20年12月5日、東京
52. 内堀亮介、岡田尚巳、松下卓、卜部匡司、水上浩明、久米晃啓、小澤敬也：  
ベクター産生型間葉系幹細胞の開発と癌治療への応用。第5回幹細胞シンポジウム 2007年5月17日-19日、淡路
53. 内堀亮介、岡田尚巳、伊藤孝幸、卜部匡司、水上浩明、久米晃啓、小澤敬也：  
ベクター産生型間葉系幹細胞の開発と自殺遺伝子療法への応用。第66回日本癌学会学術総会 2007年10月3日-5日、横浜
54. 岡田尚巳：  
AAVベクターの作製と筋疾患遺伝子治療への応用 第14回日本遺伝子治療学会学術集会 平成20年6月13日、札幌
55. 岡田尚巳：  
AAVベクター作製法の工夫と筋疾患遺伝子治療への応用 日本医科大学ハイテクリサーチセンターセミナー 平成20年6月23日、東京
56. 岡田尚巳：  
生活習慣病・神経筋疾患に対する細胞遺伝子治療の開発 第12回小児分子内分泌研究会 平成20年7月5日、小樽
57. 岡田尚巳：  
骨髄間質細胞を用いたがん遺伝子治療第7回遺伝子治療シンポジウム「幹細胞の機能制御と難病治療への応用」 平成21年1月30日、大阪
58. 出澤真理：  
骨髄間葉系細胞における胚葉を越えた多分化能と自己細胞移植治療への挑戦、第113回日本解剖学会、大分、3月、2008
59. 出澤真理：  
骨髄間葉系細胞の胚葉を超えた分化転換の誘導と自己細胞移植治療への可能性、第59回東北臨床超微形態懇話会、仙台、6月、2008
60. 出澤真理：  
骨髄間葉系細胞の神経系細胞・筋細胞への誘導システムと変性・損傷疾患への応用の可能性、第31回日本神経科学会、東京、7月、2008
61. 出澤真理：  
思わぬ発見のもたらした骨髄間葉系細胞の分化転換システムと自己細胞移植治療の可能性、女性研究者の現状とこれから。Educational Cardiology in Chiba、千葉、9月、2008
62. 出澤真理：  
自己細胞移植による神経・筋肉変性疾患の根本的治療法の開発、医薬基盤研究所基礎研究推進事業研究成果発表会、大阪、12月、2008
63. 出澤真理：  
骨髄間葉系細胞を用いた自己細胞移植による神経・筋変性疾患の根本治療法の開発、シンポジウム「再生医療のブレークスルーを目指して」、東京工業大学、1月、2009
64. 出澤真理：  
骨髄間葉系細胞の胚葉を超えた分化転換と神経・筋変性疾患への自己細胞移植治療の可能性、第32回仙台BMT懇話会、仙台、1月、2009
65. 出澤真理：

骨髄間葉系細胞の分化誘導システムを用いた自己細胞移植治療への挑戦 第 28 回日本炎症・再生学会 東京、2007

66. 出澤真理:  
胚葉を越えた多分化能と自己細胞移植治療への挑戦 Translational Medicine Seminar, 箱根、2007
67. 出澤真理:  
骨髄間葉系細胞を用いた神経・筋疾患への自己細胞移植治療の可能性 第 23 回日本 DDS 学会 熊本、2007
68. 出澤真理:  
骨髄間葉系細胞を用いた脊髄再生治療の可能性 日本脊髄基金講演会 東京、2007
69. 出澤真理:  
思わぬ発見をもたらした分化誘導システム:骨髄間葉系細胞の分化誘導システムの確立と神経・筋疾患への応用の可能性 発生工学・疾患モデル研究会 東京、2007
70. 出澤真理:  
胚葉を越えた多分化能と自己細胞移植治療への可能性 第 96 回日本病理学会総会 大阪、2007
71. 出澤真理:  
自己細胞移植治療法の開発:思わぬ発見をもたらした分化誘導システム 第 13 回阪神小児神経筋疾患研究会、大阪、2007
72. 出澤真理:  
自己細胞移植治療への挑戦:思わぬ発見をもたらした分化誘導システム 日本分子生物学会 2006 フォーラム (シンポジスト兼オーガナイザー) 名古屋 2006、12 月
73. 出澤真理:  
骨髄間質細胞の分化誘導システムの確立と神経・筋変性疾患への自己細胞移植治療の挑戦。第 51 回 日本人類遺伝学会、米子、2006、10 月
74. 出澤真理:  
骨髄間質細胞の分化誘導システムの確立:神経・筋変性疾患における自己細胞移植治療への挑戦。第 9 回日本組織工学会、京都、2006、9 月
75. 出澤真理:

骨髄間質細胞の分化誘導システムの確立:神経・筋変性疾患における自己細胞移植治療を目指して 第 27 回日本炎症再生医学会、東京、2006、7

76. 出澤真理:  
骨髄間質細胞の分化誘導システムの確立:神経・筋変性疾患における自己細胞移植治療の開発に向けて。第 2 回宮崎サイエンスキャンプ 宮崎、2006、2 月

## H. 知的所有権の出願・登録状況

### 1. 特許取得

- 1) 岡田尚巳、小澤敬也:  
ベクター産生型腫瘍標的細胞  
PCT/JP2007/50013、平成 19 年 1 月 5 日出願
- 2) 伊藤章、花岡豊、岡田尚巳、小澤敬也:  
アデノウィルス吸着架橋剤  
Agents for adsorption and bridging for adenovirus, 米国特許 US 7238777 B2, Jul. 3, 2007 成立
- 3) 「骨格筋細胞の誘導方法」(出願番号:特願 2004-372656) 発明代表者:出澤真理 発明者:出澤真理、星野幹雄、鍋島陽一、出願人:社団法人芝蘭会 出願日:2004 年 12 月 24 日
- 4) Method of inducing differentiation of skeletal muscle cell. International application number: PCT/JP2005/023598, 国際公開番号: WO 2006/069225 A1, Assignee: Kyoto University, Date of Patent: June 29, 2006

## 別紙 4

## 研究成果の刊行に関する一覧表

## 書籍

著者氏名	論文タイトル名	書籍全体の 編集者名	書 籍 名	出版社名	出版地	出版年	ページ
<u>Miyagoe-Suzuki Y</u> , <u>Uezumi A</u> & <u>Takeda S</u>	Side population (SP) cells and skeletal muscle differentiation	Tsuchida K & <u>Takeda S</u>	Recent Advances of Skeletal Muscle Differentiation	Research Signpost	Fort P.O., Trivandrum-69 5 023, Kerala, India	2008	61-78
<u>Dezawa M</u> , <u>Nabeshima Y-I</u>	Transdifferentiation systems in bone marrow stromal cells and its application to muscle dystrophy: Insights into cell-based therapy.	Tsuchida K & <u>Takeda S</u>	Recent Advances of Skeletal Muscle Differentiation	Research Signpost	Fort P.O., Trivandrum-69 5 023, Kerala, India	2008	79-92
<u>Okada T</u> , <u>Takeda S</u>	Gene therapy for Duchenne muscular dystrophy	Roland W. Herzog and Sergei Zolotukhin	A Guide to Human Gene Therapy	World Scientific	NJ, USA	in press	

## 雑誌

発表者氏名	論文タイトル名	発表誌名	巻号	ページ	出版年
Yokota T, Lu QL, Partridge T, Kobayashi M, <u>Nakamura A</u> , <u>Takeda S</u> , Hoffman E.	Efficacy of systemic morpholino exon-skipping in Duchenne dystrophy dogs	<i>Ann Neurol.</i>			in press
<u>Miyagoe-Suzuki Y</u> , Masubuchi N, Miyamoto K, Wada MR, Yuasa S, Saito F, Matsumura K, Kanesaki H, Kudo A, Many H, Endo T, <u>Takeda S</u> .	Reduced proliferative activity of primary POMGnT1-null myoblasts in vitro	<i>Mech Dev.</i>	126 巻 3-4 号	107-116	2009
Yokota T, <u>Takeda S</u> , Lu QL, Partridge TA, <u>Nakamura A</u> , Hoffman EP.	A renaissance for antisense oligonucleotide drugs in neurology: exon skipping breaks new ground	<i>Arch Neurol.</i>	66 巻 1号	32-38	2009
Ohshima S, Shin JH, Yuasa K, Nishiyama A, Kira J, <u>Okada T</u> , <u>Takeda S</u> .	Transduction Efficiency and Immune Response Associated With the Administration of AAV8 Vector Into Dog Skeletal Muscle	<i>Mol Ther.</i>	17 巻 1号	73-80	2009
Motohashi N, Uezumi A, Yada E, Fukada S, Fukushima K, Imaizumi K, <u>Miyagoe-Suzuki Y</u> , <u>Takeda S</u> .	Muscle CD31(-) CD45(-) side population cells promote muscle regeneration by stimulating proliferation and migration of myoblasts	<i>Am J Pathol.</i>	173 巻 3号	781-791	2008



Sato K, Yokota T, Ichioka S, Shibata M, <u>Takeda S.</u>	Vasodilation of intramuscular arterioles under shear stress in dystrophin-deficient skeletal muscle is impaired through decreased nNOS expression	<i>Acta Myol.</i>	xxvii	30-36	2008
Nishiyama A, Ampong BN, Ohshima S, Shin JH, Nakai H, Imamura M, <u>Miyagoe-Suzuki Y.</u> <u>Okada T.</u> <u>Takeda S.</u>	Recombinant adeno-associated virus type 8-mediated extensive therapeutic gene delivery into skeletal muscle of alpha-sarcoglycan-deficient mice	<i>Hum Gene Ther.</i>	19 卷 7 号	719-730	2008
Tanihata J, Suzuki N, <u>Miyagoe-Suzuki Y.</u> Imaizumi K, <u>Takeda S.</u>	Downstream utrophin enhancer is required for expression of utrophin in skeletal muscle	<i>J Gene Med</i>	10 卷 6 号	702-713	2008
Yuasa K, <u>Nakamura A.</u> Hijikata T, <u>Takeda S.</u>	Dystrophin deficiency in canine X-linked muscular dystrophy in Japan (CXMDJ) alters myosin heavy chain expression profiles in the diaphragm more markedly than in the tibialis cranialis muscle	<i>BMC Musculoskelet Disord.</i>	9 卷 1 号	1-12	2008
Fukada SI, Uezumi A, Ikemoto M, Masuda S, Segawa M, Tanimura N, Yamamoto H, <u>Miyagoe-Suzuki Y.</u> <u>Takeda S.</u>	Molecular Signature of Quiescent Satellite Cells In Adult Skeletal Muscle	<i>Stem Cells</i>	25 卷 10 号	2448-2459	2007
Yuasa K, Yoshimura M, Urasawa N, Ohshima S, Howell JM, Nakamura A, Hijikata T, <u>Miyagoe-Suzuki Y.</u> <u>Takeda S.</u>	Injection of a recombinant AAV serotype 2 into canine skeletal muscles evokes strong immune responses against transgene products	<i>Gene Ther</i>	14 卷 17 号	1249-1260	2007
Suzuki N, Motohashi N, Uezumi A, Fukada SI, Yoshimura T, Itoyama Y, Aoki M, <u>Miyagoe-Suzuki Y.</u> <u>Takeda S.</u>	NO production results in suspension-induced muscle atrophy through dislocation of neuronal NOS	<i>J Clin Invest</i>	117 卷 9 号	2468-2476	2007
Ikemoto M, Fukada SI, Uezumi A, Masuda S, Miyoshi H, Yamamoto H, Wada MR, Masubuchi N, <u>Miyagoe-Suzuki Y.</u> <u>Takeda S.</u>	Autologous Transplantation of SM/C-2.6 (+) Satellite Cells Transduced with Microdystrophin CS1 cDNA by Lentiviral Vector into mdx Mice	<i>Mol Ther</i>	15 卷 12 号	2178-2185	2007
Suzuki N, <u>Miyagoe-Suzuki Y.</u> <u>Takeda S.</u>	Gene Therapy for Duchenne Muscular Dystrophy	<i>Future Neurology</i>	2 卷	87-96	2006

Yugeta N, Urasawa N, Fujii Y, Yoshimura M, Yuasa K, <u>Nakamura A</u> , Wada M, Nakura M, Shimatsu Y, Tomohiro M, Takahashi A, Machida N, Wakao Y, <u>Takeda S</u>	Cardiac involvement in Beagle-based canine X-linked muscular dystrophy in Japan (CXMDJ): electrocardiographic, echocardiographic, and morphologic studies	<i>BMC Cardiovasc Disord</i>	6 卷	47-	2006
Uezumi A, Ojima K, Ikemoto M, Masuda S, <u>Miyagoe-Suzuki Y</u> , <u>Takeda S</u>	Functional heterogeneity of side population cells in skeletal muscle	<i>Biochem Biophys Res Commun</i>	341 卷	864-873	2006
<u>出澤真理</u>	筋ジストロフィーと細胞移植治療	<i>医学のあゆみ</i>	226 卷	393-396	2008
<u>Dezawa M</u>	Induction system of neuronal and muscle cells from bone marrow stromal cells and applications for degenerative diseases	<i>Inflammation and Regeneration</i>	27 卷 2 号	96-101	2007
<u>出澤真理</u>	胚葉をこえた多分化能と自己細胞移植治療への可能性 シリーズ「幹細胞技術の現状と展望」 52: 158-165, 2007.	蛋白質核酸酵素	52 卷	158-165	2007
<u>Dezawa M</u>	Insights into autotransplantation: the unexpected discovery of specific induction systems in bone marrow stromal cells	<b>Cellular and Molecular Life Sciences</b>	63 卷	2764-2772	2006
<u>Dezawa M</u> , Ishikawa H, Itokazu Y, Yoshihara T, Hoshino M, <u>Takeda S</u> , Ide C, <u>Nabeshima Y</u>	Bone marrow stromal cells generate muscle cells and repair muscle degeneration	<i>Science</i>	309 卷	314-317	2005



Recent Advances in Skeletal Muscle Differentiation, 2008: 61-78 ISBN: 978-81-308-0232-9  
Editors: Kunihiro Tsuchida and Shin'ichi Takeda

# 4

## Side population (SP) cells and skeletal muscle differentiation

Yuko Miyagoe-Suzuki<sup>1</sup>, Akiyoshi Uezumi<sup>2</sup> and Shin'ichi Takeda<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Department of Molecular Therapy, National Institute of Neuroscience National Center of Neurology and Psychiatry, 4-1-1 Ogawa-higashi, Kodaira Tokyo 187-8502, Japan; <sup>2</sup>Institute for Comprehensive Medical Science Division for Therapies Against Intractable Diseases, Fujita Health University Toyoake, Aichi 470-1192, Japan

### Abstract

*Side population (SP) cells are isolated from various tissues by their ability to efficiently exclude the vital DNA dye Hoechst 33342. The clearance of the dye from the cells is thought to be mediated by ABC transporters. Bone marrow SP cells are rich in hematopoietic stem cells and have been demonstrated to participate in muscle fiber repair. Similarly, SP cells from skeletal muscle were shown to reconstitute the bone marrow of lethally irradiated mice and, at the same time, participate in muscle fiber regeneration.*

Correspondence/Reprint request: Dr. Shin'ichi Takeda, Department of Molecular Therapy, National Institute of Neuroscience, National Center of Neurology and Psychiatry, 4-1-1 Ogawa-higashi, Kodaira, Tokyo 187-8502 Japan. E-mail: takeda@ncnp.go.jp

*Several reports, however, suggest that muscle-derived SP cells are heterogeneous in origin, gene expression, and function. To further elucidate their functions and relationships with the other myogenic cells identified to date and their potential as a tool for cell-based therapy of muscular dystrophies, it might be necessary to refine the protocol for SP cell preparation and combine Hoechst staining with identification of several molecular markers.*

## Introduction

Duchenne muscular dystrophy (DMD) is a progressive, ultimately lethal X-linked muscle disorder, caused by mutations of the DMD gene [1], which encodes a large cytoskeletal protein, named dystrophin. Dystrophin forms the large dystrophin/dystrophin-associated protein complex at the sarcolemma of myofibers, linking the basal lamina and cytoskeleton. Dystrophin deficiency causes structural weakness of the sarcolemma. The defective sarcolemma easily ruptures under mechanical stress, leading to muscle fiber necrosis, and finally results in loss of myofibers and reduced contractile power.

Skeletal muscle regenerates when injured. Muscle satellite cells, which are muscle progenitor cells located between the muscle basal lamina and myofibers, are largely responsible for this activity [2], and were expected to be a cell source for cell-based therapy of DMD. However, transplantation of satellite cells or their progeny (myoblasts) into skeletal muscle showed insufficient regenerative efficiency, and failed to ameliorate the dystrophic phenotypes of animal models and DMD patients (reviewed in [3, 4]).

On the other hand, several reports have suggested that stem cell-like activities are found in non-satellite cell fractions derived from adult skeletal muscle or in non-muscle tissues and participate in muscle fiber regeneration [5-8]. Therefore, stem cells other than satellite cells could be an alternative cell source for cell-based therapy of muscle diseases such as DMD.

Among the myogenic stem cells reported to date are side population (SP) cells. Originally, SP cells were isolated from bone marrow as highly purified hematopoietic stem cells on the basis of their ability to efflux Hoechst 33342 dye [9]. Since then, cells with the SP phenotype have been found in a wide variety of mammalian tissues, cell lines, and tumor cells, some of which have shown to possess stem cell-like properties (reviewed in [10, 11]).

In this chapter, we review papers characterizing the properties of bone marrow SP cells and muscle SP cells. Importantly, many reports show that SP cells are highly heterogeneous. To correctly understand the therapeutic potential of SP cells, it might be necessary to combine Hoechst staining with identification of several cell surface markers and perform functional analysis using a limited number of SP cells.