

目 次

・委託業務成果報告（総括）

- 運動失調症の分子病態解明・治療法の開発に関する研究……………1
水澤 英洋 独立行政法人国立精神・神経医療研究センター病院

・委託業務成果報告（業務項目）

- 1 . 運動失調症モデル動物の病態解析に基づく分子標的の探索と利用シーズの開発………… 7
祖父江 元 名古屋大学大学院医学系研究科神経内科学
- 2 . 分解系関連分子における多系統萎縮症や遺伝性脊髄小脳失調症に対する治療標的の探索………… 10
貫名 信行 独立行政法人理化学研究所視床発生研究チーム
- 3 . 歯状核赤核・淡蒼球ルイ体萎縮症 たんぱく質 (DRPLap) の生理的機能に基づく治療法開発研究………… 13
後藤 順 東京大学大学院医学系研究科脳神経医学専攻神経内科学
- 4 . iPS 細胞由来ヒト神経細胞を用いた運動失調症の治療開発研究………… 17
岡澤 均 東京医科歯科大学難治疾患研究所神経病理学
- 5 . 核酸・蛋白質の代謝恒常性破綻モデルの解析を通じた神経変性病態の解明と創薬………… 20
和田 圭司 独立行政法人国立精神・神経医療研究センター疾病研究第四部
- 6 . In vitro 疾患モデル系を用いたポリグルタミン病治療薬候補の探索………… 24
小野寺 理 新潟大学脳研究所 生命科学リソース研究センター
分子神経疾患資源解析学
- 7 . 脊髄小脳失調症の霊長類モデルの作製と検証………… 27
平井 宏和 群馬大学大学院医学系研究科神経生理学
- 8 . 脊髄小脳失調症 36 型(SCA36)における分子病態解明と新規治療法開発………… 30
阿部 康二 岡山大学大学院医歯薬学総合研究科神経内科学
- 9 . 非翻訳マイクロサテライト・リピート伸長による脊髄小脳失調症の ribonuclear foci 形成を指標にした治療薬の探索………… 33
池田 佳生 群馬大学大学院医学系研究科脳神経内科学
- 10 . 非翻訳領域リピート伸長による運動失調症の分子病態・リピート不安定性解析………… 36
松浦 徹 自治医科大学医学部神経内科学
- 11 . 多系統萎縮症の発病素因解析ならびに分子マーカーの開発………… 41
佐々木秀直 北海道大学大学院医学研究科神経内科学

1 2 . 多系統萎縮症のモデル動物作製と分子病態解明	44
若林 孝一 弘前大学大学院医学研究科・脳神経病理学	
1 3 . 異常タンパク伝播に着目したシヌクレイノパチーの病態解析と新規治療法の確立	47
武田 篤 国立病院機構仙台西多賀病院	
1 4 . ミトコンドリア蛋白 TPPP に着目した多系統萎縮症の治療法探索	50
石川 欽也 東京医科歯科大学大学院医歯学総合研究科脳神経病態学神経内科	
1 5 . 脳内の鉄代謝制御-鉄放出系の解明とそれに作用する新たな鉄除去薬の開発	53
宮嶋 裕明 浜松医科大学内科学第一消化器・腎臓・神経内科学	
1 6 . 遺伝性痙性対麻痺の新規原因遺伝子同定、病態機序解明と治療法開発	56
瀧山 嘉久 山梨大学医学部神経内科学	
1 7 . 上肢小脳機能障害の病態生理本質の解明：早期発見・治療効果判定に向けて	59
宇川 義一 福島県立医科大学医学部神経内科学	
1 8 . 小脳疾患における高次脳機能障害の評価と病態生理の解明 - 脊髄小脳変性症と多系統萎縮症での検討	62
田中 真樹 北海道大学大学院医学研究科神経生理学	
1 9 . 脳内運動制御器の非侵襲的分析を利用した高齢者の転倒リスク早期発見・対応システムの開発	65
笈 慎治 公益財団法人東京都医学総合研究所・運動失調プロジェクト	
. 学会発表実績	71
. 資料	79
1 . 平成 26 年度 運動失調症の医療基盤に関する調査研究 (H26-難治等 (難) -一般-030)	
運動失調症の分子病態解明・治療法開発に関する研究 (H26-委託 (難) -一般-061)	
合同ワークショップ	
テーマ：今後の運動失調症に関するグループ研究の推進について プログラム・抄録	
2 . 平成 26 年度厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等克服研究事業 (難治性疾患克服研究事業) 運動失調症の医療基盤に関する調査研究班	
厚生労働科学研究委託費 運動失調症の分子病態解明・治療法の開発に関する研究班	
合同研究報告会 プログラム	
. 研究成果の刊行物・別刷	85