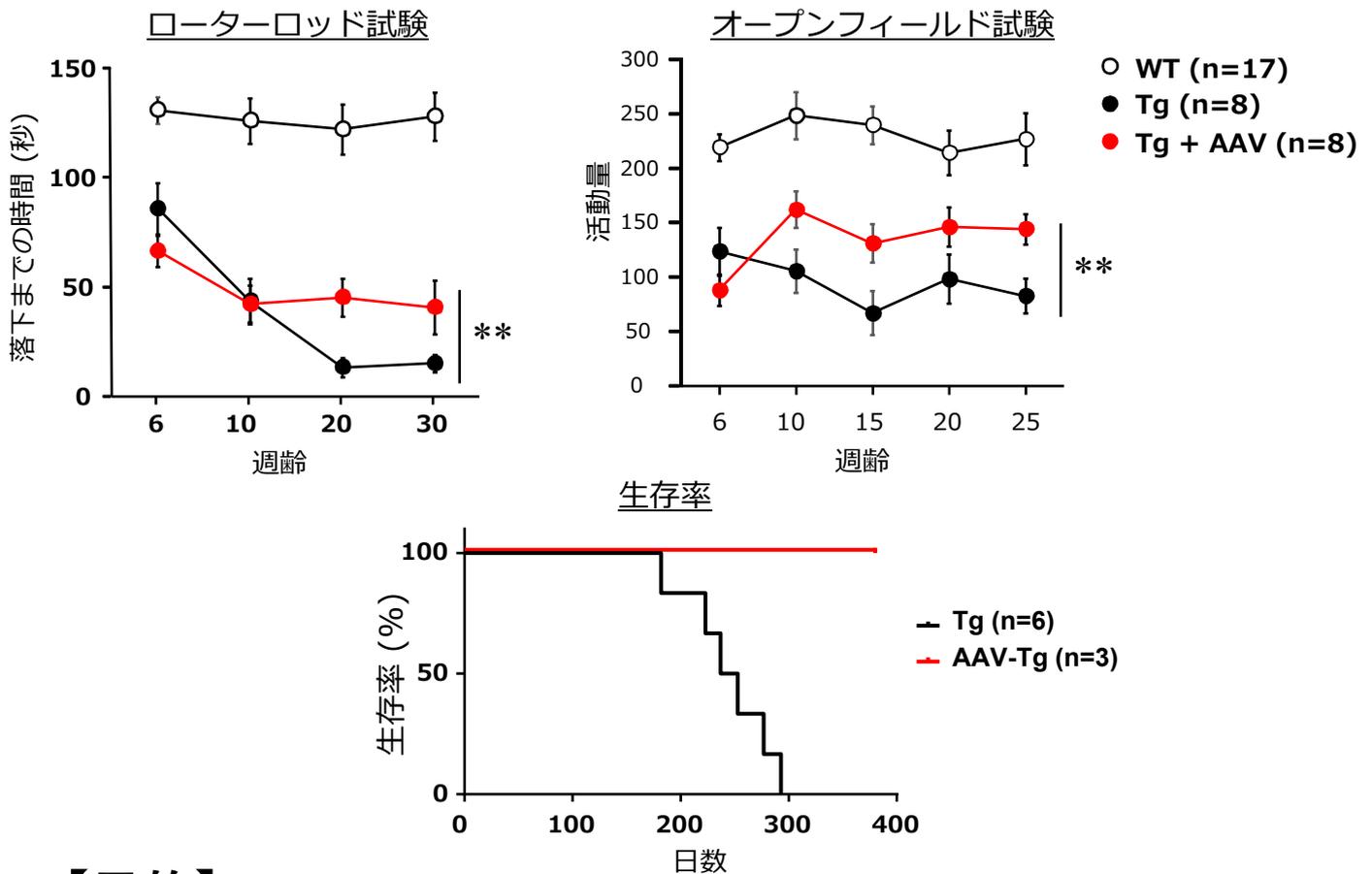


# ゲノム編集を用いたDRPLA治療のためのAAVベクターの開発

研究分担者：小野寺 理 (新潟大学脳研究所・神経内科学分野)、  
Japan Consortium of Ataxias (J-CAT)\*

\*J-CAT: 水澤英洋、高橋祐二、石川 欽也、宇川 義一、吉良 潤一、桑原 聡、佐々木 秀直、勝野 雅央、高嶋 博、瀧山 嘉久、辻 省次、花島 律子、小野寺 理、吉田 邦広、阿部 康二、池田 佳生



## 【目的】

- ①ATN1遺伝子サイレンシング用のAAVベクターの開発
- ②AAVベクター投与によるDRPLAモデルTgマウスの疾患病態軽減効果の確認

## 【成果】

1. ATN1遺伝子の発現サイレンシング用のAAVベクターを開発した
2. 上記AAVベクターを病態発症後のモデルTgマウスに投与することによりTgマウスの病態(運動失調・活動量の低下)の進行を抑制可能であることを確認した
3. AAVベクターの投与によりモデルTgマウスの生存を延長可能であることを確認した