

mTOR活性異常が関わる神経疾患の診断・治療法開発(病理・腫瘍学)

mTOR: 蛋白質リン酸化酵素
細胞増殖や代謝経路の管理を行っている

ブレーキ

TSC1/TSC2
蛋白複合体

mTOR

異常活性亢進・活性低下が
種々の疾患に関与

結節性硬化症: 常染色体優性遺伝病
: 脳内の腫瘍性病変
: 自閉症・てんかん
: 他臓器における腫瘍性病変
: 原因遺伝子 = *TSC1*と*TSC2*

活性が異常に高まる

遺伝子変異により
機能が失われる

~~TSC1/TSC2
蛋白複合体~~

mTOR

mTORの働きを
抑制すること
以外の機能??

ヒト試料では困難な実験系を
動物モデルで:
*Tsc1*に変異を持つマウス
*Tsc2*に変異を持つマウス・ラット

ラパマイシン系薬剤
--- 治療薬として使用される
も限定的な効果・副作用

新しい治療法開発に向けた
研究を展開

Tsc1/2のアクチン繊維に対する未知の作用を発見

*Tsc2*欠損ES細胞の樹立に世界で初めて成功

mTORに関連のない新たな関連経路や
これまでに知られていないmTOR下流経路
の発見へ

培養下での神経系への分化誘導実験
培養レベルの病態発生モデルの樹立へ

新しい治療薬の作用点の候補を探す

モデルの異常を直す新規の薬剤の探索に利用