

平成27年度 科学研究費助成事業（特別推進研究）
研究進捗評価 現地調査報告書

課題番号	26000007	研究期間	平成26年度～平成30年度
研究課題名	リピート結合分子をプローブとしたトリヌクレオチドリPEAT病の化学生物学研究		
研究代表者名 (所属・職)	中谷 和彦 (大阪大学 産業科学研究所 教授)		

評価コメント

本研究では予定された装置の導入も既に完了しており、研究の立ち上げは順調に行われている。新しいリピート結合分子の設計・合成に着手し、本研究予算で導入されたBiacoreや熱量測定装置を用いてそれらの化合物の結合能の解析も実際に行われており、新しい分子開発の為の基盤が整ったといえる。研究成果に関する特筆すべき点は、研究代表者らが既に開発している分子NAを用い、細胞並びにマウスのレベルでCAGリピートの短縮を示唆する結果を得ている点である。この研究結果は大変重要であり、この内容を確実に検証し、その分子メカニズムを明らかにすることによって、明確なリピート結合性分子群の設計指針が確立されると考えられる。本研究では、そのような基礎的な機構解明に重点を置いた研究の展開が重要である。その一方で、NCDなど本研究で利用しているリピート結合分子の細胞毒性に対して、その低減を目指した分子群の検討も並行して行われており、新たな分子の開発にも期待したい。研究推進体制に関しては、一部、人員の転出があったものの、適切な研究体制の再構築が行われており、研究の遂行に特に問題はないと考えられる。