



2022年11月9日

各 位

会 社 名 株式会社トランスジェニック
代表者名 代表取締役社長 福 永 健 司
(コード番号 2342 東証グロース)
問合せ先 取 締 役 船 橋 泰
(電話番号 03-6551-2601)

家族性アミロイドポリニューロパチーの病態研究における
遺伝子改変マウスの有用性に関するレビューが
「FRIGID ZONE MEDICINE」に掲載されました

遺伝性疾患家族性アミロイドポリニューロパチー (FAP) の病因・病態解析、治療法の検証における、遺伝子改変マウスを用いた研究の有用性にするレビューが、FRIGID ZONE MEDICINEに掲載されましたので、お知らせいたします。

[FRIGID ZONE MEDICINE](#)

[Volume 2 \(2022\) 65 - 75](#)

[Dissecting pathophysiology of a human dominantly inherited disease, familial amyloidotic polyneuropathy, by using genetically engineered mice](#)

Zhenghua Li^{1,2}, Kenichi Yamamura^{2,3*}

¹Department of Histology and Embryology, Harbin Medical University, Harbin 150081, China

²Institute of Resource Development and Analysis, Kumamoto University, Kumamoto 860-0811, Japan

³TransGenic, Inc., Fukuoka 810-0001, Japan

【発表論文の概要】

家族性アミロイドーシス性ポリニューロパチー (FAP) は、末梢神経障害と自律神経障害を特徴とする全身性アミロイドーシスの一種です。FAP は、TTR 遺伝子の点突然変異によって引き起こされる典型的な常染色体優性疾患ですが、発症時の平均年齢は国によって大きく異なります。この不一致は、内因性要因と外因性 (環境) 要因の組み合わせが FAP の発症に関与することを明確に示唆しています。ただし、詳細な病理学的組織分析は剖検でのみ可能であるため、これらの要因をヒトで解析することは困難です。したがって、モデルマウスが作製され、これらの要因を解明するために使用されています。本レビューでは、

これまでに作製されたモデルマウスと、これらのモデルを適用して疾患の発症に関与する内因性および外因性要因を分析し、薬効を評価する方法について説明しています。

当社は、本レビューにおいて遺伝子改変技術を用いたモデルマウスの有用性を示すとともに、他の遺伝病の遺伝子治療実験に有効なモデルマウスの作製受託あるいは共同開発を推進していきたいと考えております。

◆参考論文

Biochemical and Biophysical Research Communications

599 (2022) 69-74

TTR exon-humanized mouse optimal for verifying new therapies for FAP

以上