

11/06/10

厚生労働省科学研究補助金

難治性疾患克服研究事業

「脊柱靱帯骨化症に関する調査研究」

平成22年度 班会議

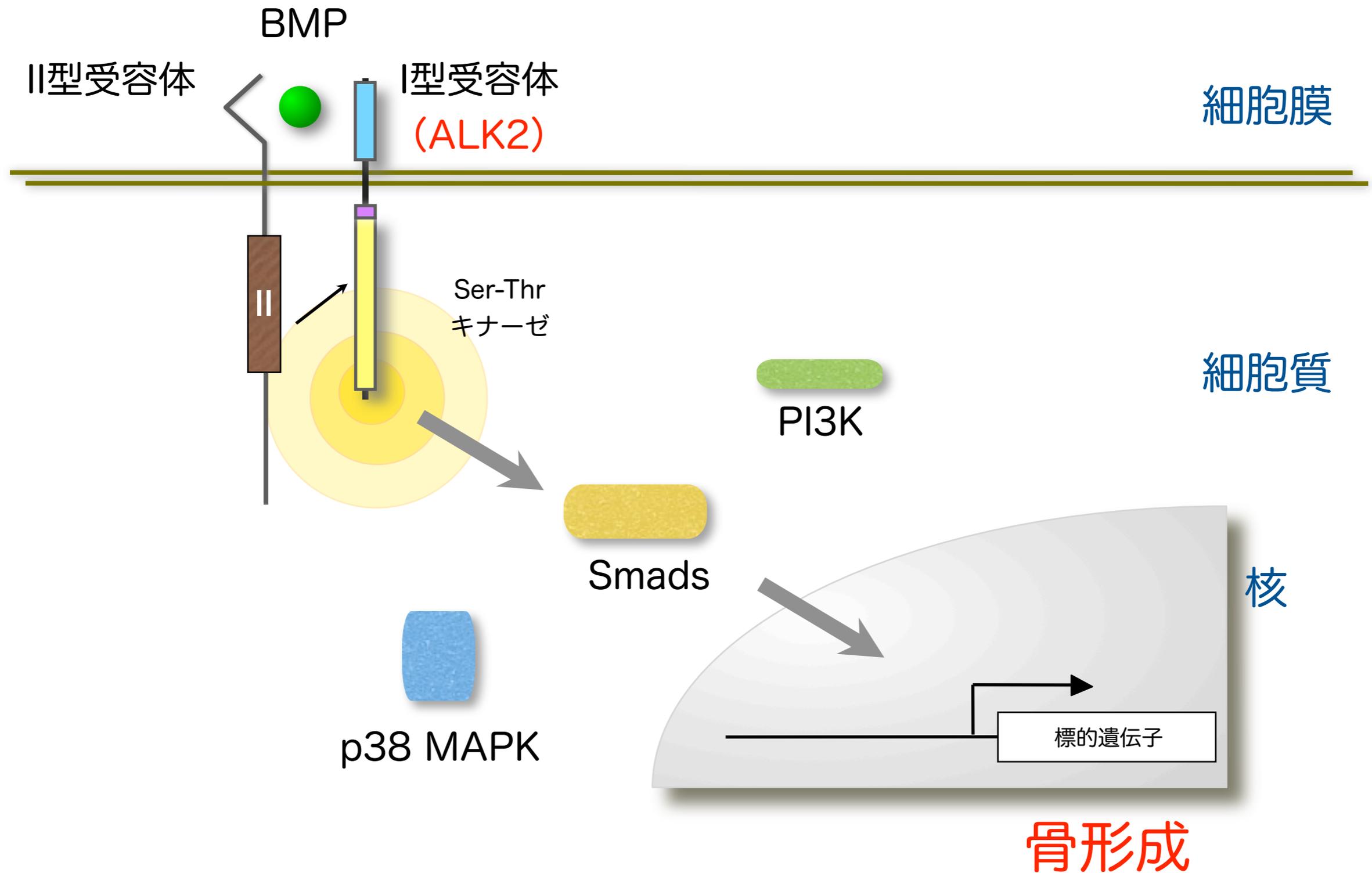
# FOP研究における国内外の進捗状況

片桐岳信

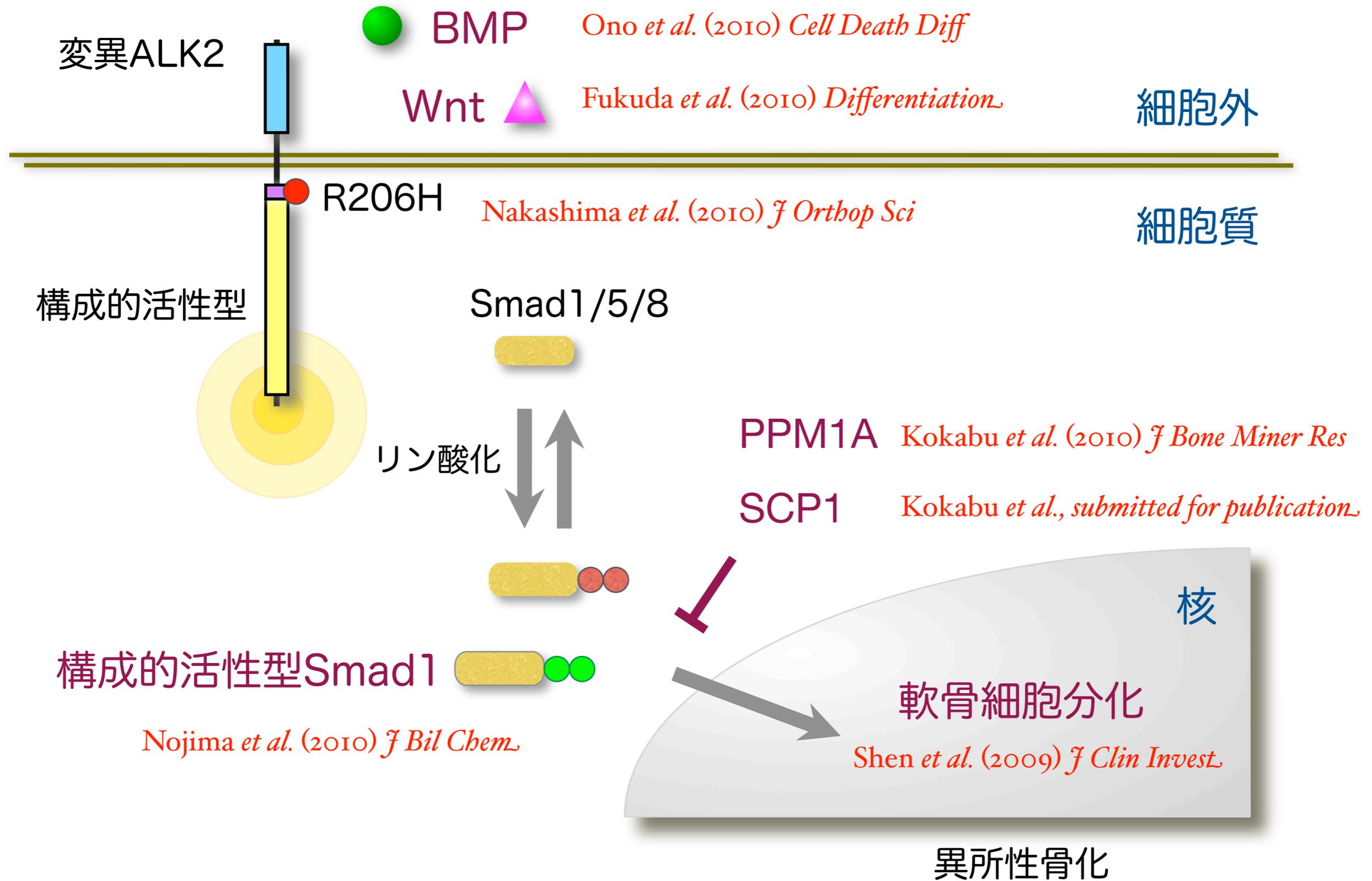
埼玉医科大学ゲノム医学研究センター

病態生理部門

# FOPとBMPの細胞内シグナル



# FOP・BMP関連の研究成果 (2009-2010)

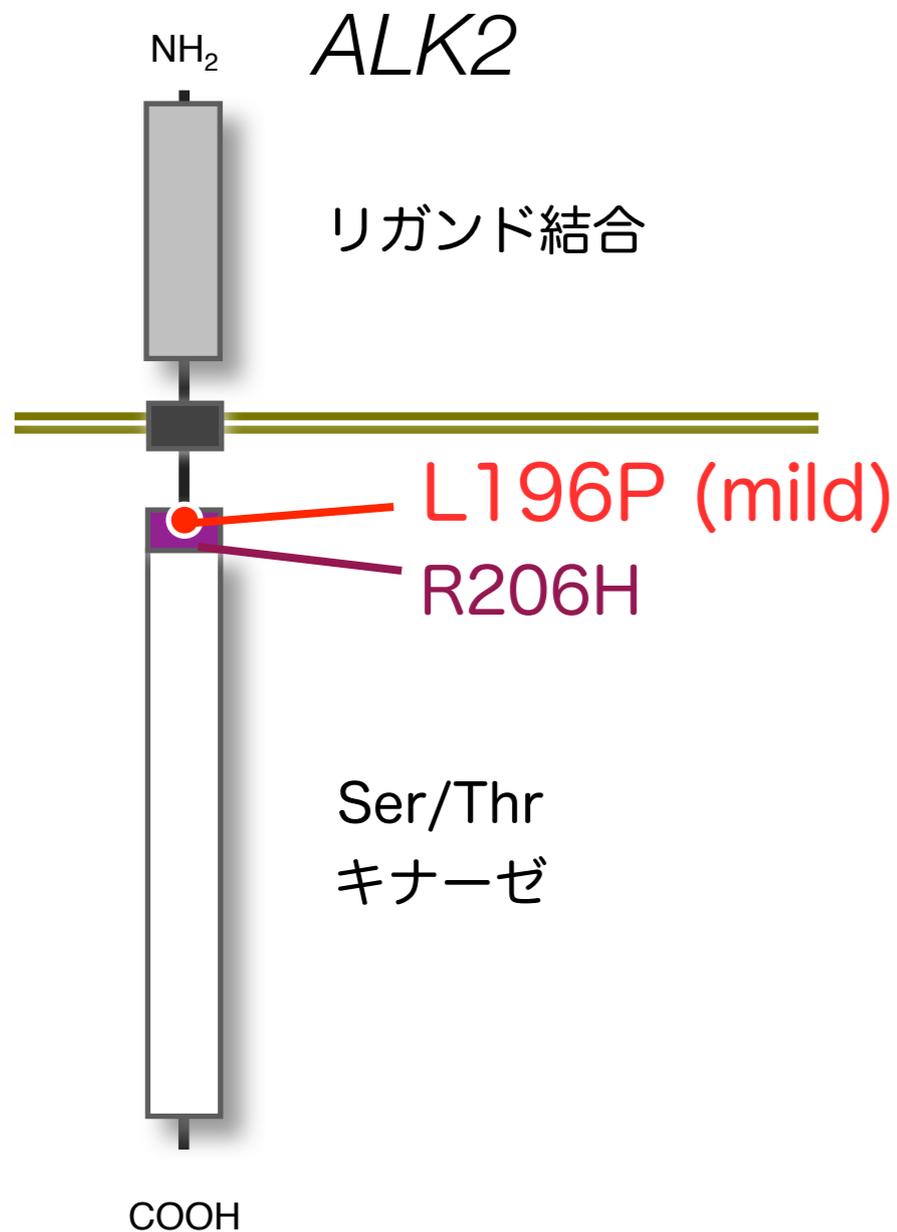


# FOP関連の演題が発表された国際学会

- 8th International Conference on BMPs  
(9月15-18日、ルーベン、ベルギー)
- ASBMR 2010 Annual Meeting  
(10月15-19日、トロント、カナダ)

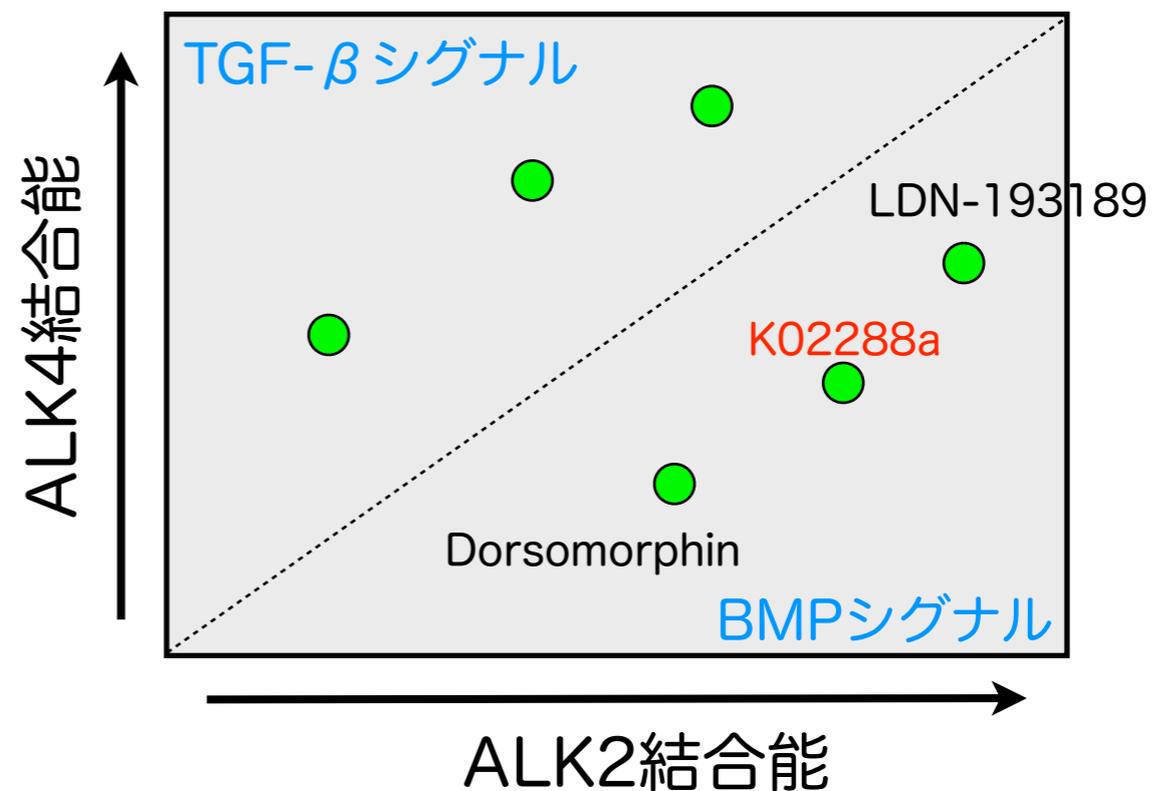
# 第8回BMP国際カンファレンスにおけるトピックス

## ● 新規ALK2変異体



## ● 新規低分子阻害剤 K02288a

(3-[6-Amino-5-(3, 4, 5-trimethoxy-phenyl)-pyridin-3yl]-phenol)



- 3種のALK2阻害剤は、ATPポケットに結合

# 2010年 米国骨代謝学会でのトピックス

## ● RAR $\gamma$ アゴニストによる異所性骨化の抑制

- ・ RAR $\gamma$  アゴニストは、BMPによるin vivoの異所性骨化を抑制
- ・ ALK2(R206H)のin vitroでのシグナルを抑制

## ● ALK2(R206H)ノックインマウス

- ・ キメラマウスで手足指の形成不全
- ・ 筋再生で異所性骨化を誘導

## ● FOP患者のiPS細胞樹立

- ・ FOP患者健常者からiPS細胞を樹立
- ・ 健常者のiPS細胞をin vitroで骨化に成功

# FOP研究の傾向

## 治療法確立

- ・ 低分子阻害剤

## 発症機序

- ・ ALK2変異体
- ・ 細胞内シグナル

## 評価モデル

- ・ モデルマウス
- ・ iPS細胞

