

[PRESS RELEASE]

2016年10月25日

埼玉医科大学ゲノム医学研究センター

難病・進行性骨化性線維異形成症（FOP）治療薬に新たな光

—骨形成を促す成長因子に対する膜貫通型受容体（ALK2）の細胞外領域に結合する阻害抗体を開発—

1. 難病・希少疾患である進行性骨化性線維異形成症（FOP）で、活性化型変異を起こしている ALK2 を阻害する抗体を開発した。
2. 本抗体は、構造が類似した他の ALK 受容体には結合せず、ALK2 を選択的に阻害する。
3. 本抗体は、将来的に FOP に対する治療薬に応用できる可能性がある。

【概要】

進行性骨化性線維異形成症（FOP）は、筋肉や腱に本来ないはずの骨組織が形成される遺伝性の難治性・希少疾患です。発症率は、全世界の平均でおよそ人口 200 万人に対して 1 人で、国内では約 60 人の患者さんがいると推定されています。FOP は、骨形成を促す成長因子に対する膜貫通型受容体（ALK2、別名 ACVR1）の遺伝子変異で起こることが、2006 年にアメリカの研究グループにより報告されました。

埼玉医科大学ゲノム医学研究センターの片桐岳信教授らのグループは、2005 年から FOP の発症機序の解明に取り組んでおり、FOP では、変異した ALK2 が過剰な骨形成シグナルを細胞に伝達することで異所性骨化が進行することを報告してきました。

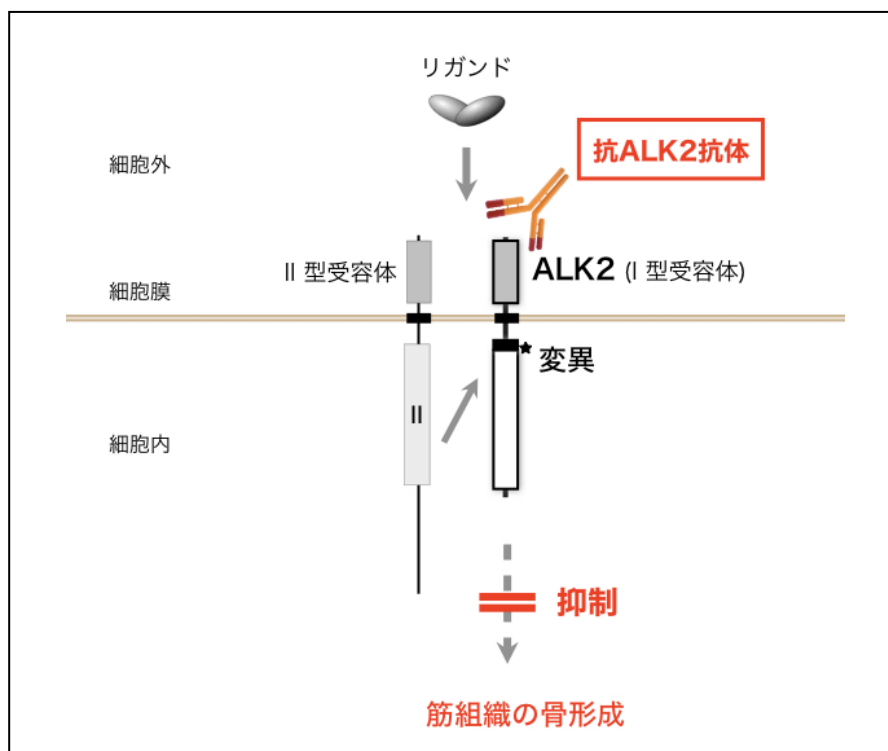
今回、片桐教授らは第一三共株式会社との共同研究により、ALK2 の細胞外領域に結合する抗体を開発しました。この抗体は、構造が類似した他の ALK 受容体には影響せず、ALK2 に選択的に結合し、そのシグナル伝達を阻害しました。さらに、この抗体を投与したマウスでは、実験的に誘導した筋組織内における異所性の骨形成が制されることが確認されました。

従って、この抗体は、これまでに報告されていない新規作用機序で ALK2 による細胞内のシグナル伝達を阻害する分子であり、将来的に、FOP で起こる過剰な骨形成を抑制する治療薬に応用できる可能性があります。

この研究は、埼玉医科大学と第一三共株式会社との共同研究 (TaNeDS プログラムによる支援も含む)、および私立大学戦略的研究基盤形成支援事業の一環として行われたものです。

本研究内容は、平成 28 年 10 月 24 日 (現地時間) にボストンで開催された第 2 回 FOP 治療薬開発フォーラムで発表されました。研究の詳細は、平成 28 年 10 月 26 日から 30 日 (現地時間) にボストンで開催される第 11 回国際 BMP カンファレンスで発表される予定です。

【参考図】 抗 ALK2 抗体による筋組織における骨形成の抑制



《本件に関するお問合せ先》

埼玉医科大学ゲノム医学研究センター

病態生理部門

部門長・教授 片桐 岳信 (かたぎり たけのぶ)

E-mail : katagiri@saitama-med.ac.jp

電話 : 042-984-4412 (代表)