

2015年2月19日



各 位

会社名 J C R ファーマ株式会社  
代表者名 代表取締役会長兼社長 芦田 信  
(東証1部 コード番号4552)  
問合せ先 経営戦略部 広報・IRグループ長 伊藤 学  
(TEL 0797-32-8591)

ムコ多糖症II型（ハンター症候群）モデル動物の表現型解析について  
LDN 11th Annual WORLDSymposium™ 2015で発表

当社は、2015年2月9日から13日に米国フロリダ州オーランドで開催されたLDN 11th Annual WORLDSymposium™ 2015において、ムコ多糖症II型（ハンター症候群）治療薬（開発コード：JR-032）の開発に関連したイズロン酸2スルファターゼ（IDS）遺伝子ノックアウトマウスの表現型解析についてポスター発表しました。本発表の概要を下記に示します。

尚、本発表は、昨年11月に開催された第56回日本先天代謝異常学会総会において発表したものと同一内容でございます。

ライソゾーム病の一種であるムコ多糖症II型は先天的なIDS遺伝子の変異などによりIDS活性が欠損または低下し、基質のグリコサミノグリカン（GAG）が分解されずにリソソーム内に蓄積することによって生じる疾患である。全身に進行的な機能障害が現れ、重症の場合、中枢神経障害による精神発達遅滞を伴い死に至る。今回、ムコ多糖症II型のモデル動物としてIDS遺伝子ノックアウト（IDS KO）マウスを作製し、その表現型解析を実施した。

各臓器中のGAG蓄積度を確認するため、Alcian Blue比色定量法でGAG濃度を定量したところ、同腹仔の野生型マウスと比較して、IDS KOマウスで顕著なGAG濃度の増加が認められた。同様に、Alcian Blue染色による病理組織学的検査においても、IDS KOマウスの各臓器でGAG蓄積に伴う強い染色性が認められた。また、IDS KOマウスの大腿骨を末梢骨用定量的CTで解析したところ、IDS KOマウスにおいて骨密度、皮質骨厚及び皮質骨内膜周囲長等の増加が認められた。さらに、IDS KOマウスの学習能力に関する異常を「モーリスの水迷路」試験で評価したところ、IDS KOマウスの標的プラットフォームまでの到達時間と遊泳距離が野生型マウスよりも有意に延長しており、IDS KOマウスにおける学習能力の低下が確認された。

この様に、当該KOマウスはムコ多糖症II型の各種臨床症状を反映しており、非常に有用な動物モデルであると考えられた。

以上