

シグナル伝達医学講演会/先端医学トピックス

# CRISPR/Cas9技術によるin vivo エピゲノム改変

'CRISPR/Cas9-based epigenetic gene activation in vivo'

畠中 史幸 先生

Research associate  
Gene Expression Laboratory  
(Juan Carlos Izpisua Belmonte lab.)  
Salk Institute for Biological Studies



日  
時

平成30年9月26日 (水)  
17:30~19:00

場  
所

外来診療棟 5階 B講義室

## 【講演要旨】

近年、CRISPR/Cas9を用いたゲノム編集技術は、次世代遺伝子治療の実用化に向けて急速に進歩している。

我々は、このCRISPR/Cas9システムを応用し、DNA double-strand breaks (DSBs) を起こさずに *in vivo*においてエピジェネティックな修飾を伴い、内在性標的遺伝子の発現を活性化 (TGA: Target gene activation) させることに成功した。

このシステムは、出生後のマウスにおいて生理学的な表現型を引き起こすのに十分であり、さらに幾つかの病態モデルマウスにおける症状の改善に有効であった。

以上のことから、本 *in vivo* CRISPR/Cas9 TGAシステムは、様々な病気に対するエピジェネティック治療という新たなPrecision medicineの確立に向けて、重要な基盤となりうる技術であると考えられる。

## 【PUBLICATION】

Cell, 14;171(7):1495-1507, 2017

Cell, 10;170(4):599-600, 2017

Ann. Med., 23:1-10, 2016

Cell, 15;167(7):1719-1733,2016

Nature, 1;540(7631):144-149, 2016,

PLoS Biology, 12(4): e1001839, 2014.

Mol. Cell. Biol., 30: 5636-48, 2010.

Cell, 137(7): 1235-1246, 2009.

【担当】 分子細胞生物学分野 教授 鈴木 聡 (内線: 6052)

【主催】 シグナル伝達医学研究展開センター

【連絡先】 研究支援課研究企画係 (内線 5195)

E-mail: k9shien@med.kobe-u.ac.jp