

学生優秀発表賞受賞者：西岡和輝 演題番号 077

## 遺伝性代謝病を対象とした組換え酵素製剤と 化学シャペロンの併用療法の有効性

西岡 和輝<sup>\*1§</sup> 石橋 潤一<sup>\*1</sup> 奥宮 敏可<sup>\*2</sup>

### I. 研究の概要

ポンペ病 (II 型糖原病) は、酸性  $\alpha$ -グルコシダーゼ (A $\alpha$  Glu) の遺伝的欠損により、細胞内にグリコーゲンが蓄積する先天性代謝異常症として知られる疾患である。現在、本症の根治療法として酵素補充療法が臨床で行われているが、膨大な費用が必要であることや、免疫応答が惹起されるなどの問題点が指摘されている。これらの問題点を克服する新規治療戦略として化学シャペロン療法が注目されている。本研究ではポンペ病を対象とし、酵素補充と化学シャペロンの併用療法の有効性について解析を行った。対象としては、内因性の A $\alpha$  Glu 酵素が全く存在しないポンペ病患者由来の培養線維芽細胞を用いた。化学シャペロンとしては *N*-butyldeoxynojirimycin (NB-DNJ) を用いた。患者細胞に対する組み換え酵素製剤 (rA $\alpha$  Glu) と NB-DNJ の併用効果は、細胞内 A $\alpha$  Glu 酵素活性測定並びにウエスタンブロッティングにより行った。また、細胞内 A $\alpha$  Glu の高次構造の変化はプロテアーゼに対する抵抗性を利用して解析した。rA $\alpha$  Glu と NB-DNJ の併用により、細胞に取り込まれた酵素蛋白質のプロセッシングが促進し、正常高次構造を維持した酵素成熟体量が著増した。

### II. 受賞の感想

この度は第 10 回臨床検査学教育学会学術大会において学生優秀発表賞という栄誉ある賞を賜りありがとうございました。同学会学術大会には本年、昨年と 2 度の参加をさせていただきましたが、多くの同世代で研究を行っている方々と意見交換ができる貴重な場でした。2 年間にわたり同学会学術大会に参加し、同じ道を歩む同世代の皆さんの前向きな姿を拝見することができ、自分自身にとりましても非常に良い刺激になりました。私は将来、臨床の現場で働きながら研究を続けていきたいと考えているので、このような賞を頂くことができましたことは大きな励みになりました。本発表に際して発表の場を設けて下さいました学会関係者の皆様方、また、ご指導賜りました奥宮敏可教授に深く感謝申し上げます。

### III. 将来への抱負

周知のごとく、昨今では検査室の自動化は未曾有のごとく全国に浸透し、臨床検査技師への負担もかつてと比較し少なくなっているという話を耳にすることがあります。こうした中、臨床検査技師として臨床や医療のためにどう貢献していくかを考えていくことは、「臨床検査技師は医療 (医学) の中で何をすべきか」という極めて根源的な課

<sup>\*1</sup> 熊本大学大学院保健学教育部検査技術科学分野 § 142w0304@st.kumamoto-u.ac.jp、

<sup>\*2</sup> 熊本大学大学院生命科学研究部生体情報解析学分野

題を掘り下げることが意味するものと考えています。それは自分自身のスキルアップを目指した資格取得であったり、独創的な研究を行い医療(医学)の発展に寄与することであったりと、同学会学術大会での講演や演題を聴講し、将来自分が直

面する問題として真剣に考えることができました。これからも向上心を忘れることなく、次世代の臨床検査を担う一員としてしっかりと努めてまいりたいと思います。