

# 第115回 未来医療セミナー

2022年1月14日（金）18:00-19:00

## ▶ ゲノム編集技術による疾患モデリング および生体内遺伝子修復治療

鈴木 啓一郎

大阪大学 高等共創研究院 特命教授



突然変異が原因となり生体機能に多大な影響を及ぼす先天性遺伝病は10,000種以上存在すると推測されているが、現状で有効な治療法は少なく、対症療法が主である。一方で、近年開発されたCRISPR-Cas9を始めとする人工DNAヌクレアーゼの登場により、ゲノムの標的遺伝子を操作する『ゲノム編集』技術が急速に進歩し、これまで成し得なかった創薬開発や根治療法の確立が期待されている。

本講演では、我々が開発した生体内ゲノム編集技術HITI (Homology-Independent Targeted Integration) 法を用いることで、従来法では不可能であった生きたままのマウスの脳や筋肉を含む様々な非分裂組織で標的配列を自由に組み込み、病因遺伝子変異を根本から治療する事が可能となった事例を紹介する。

オンライン開催（事前登録制・参加費無料）

参加申込：下記のURLからお申込ください。2022年1月13日(木)正午締切  
<https://forms.office.com/r/f1pPMDJBJF>

