

## 第四回日本筋学会奨励賞（2024年度）を受賞して

京都大学 iPS 細胞研究所 堀田 秋津



この度は、栄えある日本筋学会奨励賞に選出して頂き、砂田理事長、戸田副理事長、および選考委員の理事の先生方に、心より感謝申し上げます。また、私をここまで育てて頂いた恩師の先生方、私どもの研究にお力添えを頂いた共同研究者の先生方にも、この場を借りて厚く御礼申し上げます。また、この受賞は毎日一生懸命実験をしてくれている研究室のメンバーの努力があってこそであり、この喜びを分かち合いたいと思います。

私はもともと、名古屋大学工学研究科でウイルスベクターを用いた遺伝子工学の研究に取り組み、工学の学位を取得致しました。また、カナダのトロント小児病院に研究留学して、ES/iPS 細胞の研究に取り組みました。そんな中、京都大学 iPS 細胞研究所に移って自分の研究室を立ち上げるにあたり、より医療応用に貢献できる研究に関わりたいと思い、筋ジストロフィー研究を本格的にスタートさせました。TALEN や CRISPR-Cas9、そして CRISPR-Cas3 といった最先端のゲノム編集技術を取り入れることで、Duchenne 型筋ジストロフィー（DMD）の原因である遺伝子変異をゲノムレベルのエクソンスキッピングにより修復する手法の開発に成功しました。さらに、CRISPR-Cas9 を生体内の骨格筋へと送達するために、ウイルス様粒子(VLP)や脂質ナノ粒子(LNP)といった送達技術を開発し、mdx モデルマウスで実証を行ってきました。こうして振り返ってみると、幅広い技術に携わってきましたが、筋ジストロフィーのような難病を治療するためには、何れも欠かせない技術だと考えています。

私は難病で苦しんでおられる患者さん達のために、ゲノム編集治療を実現させることを目指しています。そのためには、さらにゲノム編集の精度を高めると同時に、治療が必要な部位に効率良く必要な量の酵素を送り届ける送達技術のさらなる革新も必要です。筋ジストロフィーのような難病が、画期的な根治療法の開発により難病で無くなる社会を実現することが夢です。まだまだ多くの課題が山積していますが、その一つ一つに挑戦し、ゲノム編集治療の未来を切り開いていきたいと考えています。

最後に、骨格筋研究に興味を持たれた若手研究者や学生の皆さんも是非、新しい研究分野に果敢に挑戦して頂きたいと思います。科学の世界は、日々新しい発見が繰り返される刺激的なフィールドです。研究者一人一人が地道に挑戦を積み重ねて行くことで、将来の大きな進展に繋がると信じています。私もこれから登場するであろう新しい発見を楽しみにしつつ、引き続き難治性筋疾患の治療開発に貢献できるよう、精進して行きたいと思います。