



## 遺伝子組換え作物の最新動向 2022年8月



### ニュース

- ガーナが遺伝子組換えBtササゲの環境・市場開放を承認
- メロンの成熟に関わる3つの遺伝子を特定
- 植物由来の「牛肉」は、二酸化炭素排出量を削減するが、農業に携わる150万人の雇用を脅かす
- EFSA:5種のGMスタック・トウモロコシとサブコンビネーションが非GMトウモロコシと同程度の安全性
- 根の構造を変化させ、植物の回復力を高める合成遺伝子を発見
- バイオテクノロジーの研究能力を世界的に向上させる植物科学者のネットワーク
- 光合成のマルチジーン・バイオエンジニアリングがダイズの収量を増加させることを証明
- 遺伝子組換え食品表示の義務化は、顧客の購買に影響を与えるとの研究結果

### 研究のハイライト

- イネに早魃耐性を付与するNAC17のリグニン蓄積機構を解明
- トリコデルマ菌の遺伝子でイネの紋枯病耐性を獲得
- 早魃耐性ポプラの圃場試験で良好な成績

### 植物育種における革新

- 中国の研究チームがコムギの収量を向上させる新たな方法を発見
- 植物は窒素工場になることができる

### ゲノム編集に関する特記事項

- ゲノム編集と伝統的な育種には同様のリスクがある
- ゲノム編集されたヤギを開発
- University of California San Diegoの研究者が、CRISPRを利用して世界的な害虫に狙いを定めた
- FDAがCRISPRを用いた治療薬の治験を承認

---

### ニュース

#### ガーナが遺伝子組換えBtササゲの環境・市場開放を承認

2022年6月30日、ガーナの国家バイオセーフティ機関は、[遺伝子組換え](#) (GE) [Bt saササゲ品種709A](#) を無条件で輸入および/または使用を承認し、ガーナで使用が承認された最初のGE作物となった。この承認は10年間有効で、更新可能である。

Btササゲ709Aは、ササゲの収量を20～80%減少させるマルカポッドボーラー (Maruca pod borer)を防除対象としている。この品種の圃場テストは2016年にガーナで開始され、現在、開発者のSavanna Agricultural Research Institute (SARI)は、2つの作期で2つの異なる地域の農家の圃場テストを実施することが可能になった。これらの試験結果は、その後、食糧農業省の国家種子評議会の国家品種リリース・登録委員会に提出され、国家品種カタログに登録される新品種として検証・承認される予定である。SARIはこの段階を経て、ガーナの商業市場への種子流通を開始することができるようになる。

ササゲは黒目豆とも呼ばれ、サハラ以南のアフリカでは2億世帯以上の家庭で主食として食べられている。窒素固定、高タンパク質の豆で、家畜の飼料としても利用されている。ガーナは、16万9千トンの需要に対し、毎年約5万7千トンしかササゲを生産していないと推定されている。ガーナは、その差を埋めるためにナイジェリア、ブルキナファソ、ニジェールから輸入している。ナイジェリアでは2019年にBtササゲが承認され、ブルキナファソも独自のBtササゲを開発中である。

詳しくは以下のサイトの論文をご覧ください。 [USDA Foreign Agriculral Service](#) また、決定文書は、以下のサイトにある。 [Biosafety Clearing-house](#)

---

### メロンの成熟に関わる3つの遺伝子を特定

スペインの Centre for Research in Agricultural Genomics (CRAG)と Institute of Agrifood Research and Technology (IRTA)、パリの Institute of Biology of the École Normale Supérieure の共同研究でメロンの成熟における3つの [遺伝子](#) の役割を特定し、果物の成熟メカニズム解明をもたらした。

IRTA と CRAG の研究者である Marta Pujol 氏は、メロンの熟成は複数の遺伝子が関与する複雑なプロセスであり、その仕組みを理解するためには同定が必要であると述べている。研究者たちが取り組んだのは、メロンのなかでも気候性成熟品種であるカンテロープである。トマトと同様、カンテロープは収穫後も熟し続け、エチレンを放出することで熟成を進める。

研究チームは、[CRISPR-Cas9](#) を用いてメロンの遺伝子を初めて編集し、メロンの気候性成熟に関わる3つの遺伝子-CmCTR1、CmROS1、CmNAC-NOR-を特定した。研究チームは、この3つの遺伝子に変異を起こさせ、最初の2つの遺伝子の発現を抑制することで、果実の成熟が早まることを見いだした。3つ目の遺伝子については、nor-3 という変異が成熟を8日遅らせることに成功し、nor-1 という変異が成熟を完全に阻害したことが観察された。

詳しくは以下のサイトの論文をご覧ください。 [CRAG News](#)

---

植物由来の「牛肉」は二酸化炭素排出量を削減するが、農業に携わる150万人の雇用を脅かす

Cornell University と Johns Hopkins University および Lancet Health の国際共同によって行われた研究における新しい経済モデルでは、植物由来の「牛肉」代替が [二酸化炭素](#) 排出量の削減に役立つ一方で、その振興と普及が米国内の 150 万以上の雇用を脅かすことになろうとしている。

*Lancet* 誌に掲載された論文によると、[米国](#) は肉タンパク質の代替品を使用することで、牛肉生産に必要な牛の数を 200 万から 1200 万頭削減することができその結果農業による二酸化炭素排出量を 2.5% から 13.5% 削減できるとされる。研究者たちは、植物由来の牛肉代替品が現在の米国産牛肉需要の 10%、30%、60% を代替した場合の経済的影響を比較することで、植物由来の牛肉代替品に対する混乱を比較した。

植物由来の牛肉代替品による食糧システムの変化は小さいが、国民総生産にプラスの影響を与えるだろうと書いている。しかし、「特に牛肉のバリューチェーンでは、60% 代替シナリオでは 45% も大幅に縮小する可能性がありこれらの部門で雇用される 150 万人以上の人々の生活に影響を与えるだろう」と述べている。

植物由来の牛肉代替品の採用は、他にも意図しない結果をもたらすと著者は述べている。牛肉セクターから解放された資源は、豚や家禽セクターの拡大を可能にし、動物福祉の問題を引き起こす可能性がある。

詳しくは、[Cornell Chronicle](#) の記事をご覧ください。

---

## EFSA: 5 種の GM スタック・トウモロコシとサブコンビネーションが非 GM トウモロコシと同程度の安全性

欧州食品安全機関 (European Food Safety Authority、EFSA) の遺伝子組換え生物に関するパネル (Genetically Modified Organisms、GMO パネル) は、5 種のスタックの [遺伝子組換え \(GM\) 除草剤耐性](#) 及び [昆虫耐性](#) トウモロコシ [MON 89034 × 1507 × MIR162 × NK603 × DAS-40278-9](#) (GM) の安全性にする評価書を発表した。科学的意見は Dow AgroSciences LLC からの規則 (EC) No. 1829/2003 に基づく EFSA-GMO-NL-2018-151 申請書に記載されている。

申請 EFSA-GMO-NL-2018-151 の範囲は、トウモロコシ MON 89034 × 1507 × MIR162 × NK603 × DAS-40278-9 の欧州連合 (EU) 内での輸入、加工、食品および飼料用途である。GMO 委員会は、以前に単一品種である [MON 89034](#)、[1507](#)、[MIR162](#)、[NK603](#)、[DAS-40278-9](#) を評価し、安全性に関する懸念は確認されなかった。単一種苗や評価されたサブコンビネーションについて、その安全性に関する当初の結論を修正するような新しいデータは確認されていない。GMO 委員会は、単一トウモロコシ事象の安全性に関する前回の結論が引き続き有効であると判断している。

GMO 委員会は、ヒトと動物の健康と環境に対する潜在的な影響に関して、5 つの品種特性をスタック (積み重ね) したトウモロコシは、比較対象や選択された商業用非遺伝子組換えトウモロコシ基準品種と同様に安全であると結論づけました。

詳細については、[EFSA Journal](#)に掲載された科学的意見をお読みください。

---

## 根の構造を変化させ、植物の回復力を高める合成遺伝子を発見

University of Stanford の研究者らは、さまざまな種類の植物細胞の変化を制御できる一連の合成遺伝回路を設計し、これを用いて、栄養と水の吸収を助けるために根の構造を変更した植物を育成した。この合成遺伝子は、根のほか、環境条件の変化に適応できる葉の構造も変化させることができる可能性がある。

研究者らは、変化決定プロセスを導く論理ゲートを持つコンピューターコードのように機能する合成 DNA を構築した。この論理ゲートを使って、どの種類の細胞が特定の遺伝子を発現しているかを特定し、植物の他の特徴を変えずに根系の枝の数を調整できるようにした。最初の 1,000 個から、188 個の回路設計が機能することが判明した。しかし、ある特定のデザインを使って、シロイヌナズナの根の細胞の発生遺伝子を変更する論理ゲートを作成した。この遺伝子の発現量を変化させると、植物の根系の枝の密度が変化することがわかった。今回の発見は、商業用作物にも応用できる可能性があり、不利な環境条件でも育つ植物品種の開発に役立つ。

詳しくは、以下のサイトのニュースをご覧ください。[Stanford University](#)

---

## バイオテクノロジーの研究能力を世界的に向上させる植物科学者のネットワーク

[遺伝子工学](#)を利用して植物を生産する世界的な能力は、需要に対して決定的に不足している。これは、最近 US National Science Foundation から US\$500,000 の支援を受けて Plant Genetic Engineering Network Research Coordination Network (PlantGENE)を始めた Boyce Thompson Institute (BTI)の Joyce Van Eck 准教授の言葉である。

世界が人口の急増と[気候変動](#)という課題に直面し続ける中、地球を持続的に養うための作物の改良が不可欠となっている。バイオテクノロジーは作物改良の鍵の一つですが、この技術は大きな制限を受けている。即ち、研究者に [biotech plants](#) を提供するサービスがないし、植物を改変できる技術者も十分でないとしている。

このような問題に気づいた Van Eck 氏らは、PlantGENE を立ち上げた。PlantGENE は、植物バイオテクノロジーの研究者たちのネットワークで、技術、知識、プロトコルの共有を促進するために協力し合う。Van Eck 氏によると、「PlantGENE は、植物バイオテクノロジーと作物改良に関する問題に取り組むグループのまとめ役となる。このネットワークは、植物遺伝子工学の能力を高め、連携する施設を調整し、植物遺伝子工学技術の専門家となりうる新しい科学者を育成することにつながる。」としている。

詳しくは、以下のサイトをご覧ください。[BTI](#)

---

## 光合成のマルチジーン・バイオエンジニアリングがダイズの収量を増加させることを証明

光合成効率向上の実現 (*Realizing Increased Photosynthetic Efficiency: RIPE*) 研究プロジェクトの研究者は、光合成のマルチ遺伝子バイオエンジニアリングにより、[ダイズ](#)の収量が増加することを初めてフィールド試験で証明した。University of Illinois と Lancaster University の科学者が率いる共同チームは、10年以上の歳月を経て、ダイズの光合成の効率を高める遺伝子組換えを行い、品質を損なわずに収穫量を増やすことに成功した。

RIPE の研究者たちは、10年以上にわたって、100以上のステップからなる光合成のプロセスを改善するために研究を続けてきた。今回、RIPE の研究者たちは、光合成を改善するためにダイズ植物の VPZ コンストラクトを改良し、その結果、収量が向上するかどうか圃場試験を行って、これまでにない研究成果を発表しました。PVZ コンストラクトには、植物の光防御に役立つキサントフィルサイクルと呼ばれる色素サイクルのタンパク質をコードする3つの[遺伝子](#)がある。太陽光が十分に降り注ぐと、葉ではキサントフィルサイクルが活性化され、葉をダメージから守り、余分なエネルギーを発散させる。日陰になると、この光防御のスイッチが切れ、葉は光合成のプロセスを続けることができる。しかし、この光防御機構を解除するのに数分かかるため、本来光合成に使われるはずだった貴重な時間が失われてしまう。

研究チームは、VPZ コンストラクトの3つの遺伝子を過剰発現させると光合成が促進され、葉が明るい場所から日陰に移るたびに、光防御のスイッチが早く切れるようになることを発見した。その結果、葉は光合成の時間を増やすことができ、これが生育期を通じて積み重なると、光合成の総量が増加する。この RIPE の研究により、収量が20%以上増加したにもかかわらず、種子の品質には影響がないことが明らかになった。

詳しくは以下のサイトのニュースリリースをご覧ください。[RIPE](#) 及び [University of Lancaster](#)

---

## 遺伝子組換え食品表示の義務化は、顧客の購買に影響を与えるとの研究結果

Pennsylvania State University College of Agricultural Sciences の研究者が行った研究によると、[genetically engineered plants](#) からの原材料を示すラベルは、売上高の減少につながる可能性があるとのことである。*Food Policy* 誌に掲載されたこの研究は、[遺伝子組換え](#) (GE) 食品 [表示義務化](#)に関する法律が施行された後の Vermont 州の売上動向データを調査したものである。

その結果、表示義務化後、GE成分を含む食品の売上は5.9%減少したことが分かった。一方、非GEと表示された製品の売上は2.5%増加し、有機製品は7%増加した。Fan氏は、「遺伝子組換え製品が安全であることは分かっているが、表示の義務化によって人々がこれらの製品を拒否し、食糧難の問題が増加することを懸念する人が多い。」と述べた。「確かに売上は少し減少しましたが、大きな影響はなく、また、時間が経つにつれてGE製品に対する態度が改善されていることがわかりました。」とも述べている。

Fan 氏は、いくつかの食品メーカーが、GE 製品の販売に悪影響を与える可能性があるため、このような表示法に対して懸念を表明していたことを強調した。

詳しくは、以下の Pennsylvania State University のニュースリリースをご覧ください。 [Penn State](#)

---

## 研究ハイライト

### イネに早魘耐性を付与する NAC17 のリグニン蓄積機構を解明

Seoul National University (SNU)の専門家は、[イネ](#)の転写因子 *NAC17* が早魘耐性に果たす役割を明らかにした。この研究成果は、*Plant Science* 誌に掲載された。

陸上植物は、[早魘](#)ストレスに対処するために複雑なメカニズムを持つように進化してきたが、それは転写制御を含む多面的なシグナル伝達ネットワークによって制御されている。そこで、研究グループは、NAC 転写因子ファミリーの一員である *OsNAC17* の早魘耐性における機能を明らかにした。

*OsNAC17* を過剰に発現させると、植物は早魘に対する耐性を示し、一方、ノックアウトすると早魘ストレスに弱くなることがわかった。さらに、*OsNAC17* は、葉や根のリグニン形成に関わる遺伝子を制御していることが明らかになった。これらの知見は、*OsNAC17* がイネのリグニン生成を介して早魘耐性に寄与していることを示唆している。

詳しくは以下のサイトをご覧ください。 [Plant Science](#)

---

### トリコデルマ菌の遺伝子でイネの紋枯病耐性を獲得

Punjab Agricultural University の研究者らは、トリコデルマ菌の抗真菌性 [遺伝子](#) を用いて、紋枯病抵抗性イネを開発した。この研究成果は、*Transgenic Research* 誌に掲載された。

イネ紋枯病は、真菌病原体 *Rhizoctonia solani* によって引き起こされ、収量損失の最大 50% を占める [イネ](#) 生産にとって最も破壊的な脅威の 1 つである。病原菌は葉身や葉鞘を貫通し、植物体を壊死させる。現在のところ、この病原菌に対する主要な病害抵抗性遺伝子は見つかっていない。このため、研究者たちはイネに病害抵抗性を付与する方法を探した。

そこで、*Trichoderma* からクローニングした抗真菌性  $\beta$ -1,3-グルカナーゼ遺伝子を導入した遺伝子組換えインディカ米およびジャポニカ米を開発した。導入遺伝子は 5 倍まで発現することが確認された。 $\beta$ -1,3-グルカナーゼを高発現させた植物は、病原菌に対して中程度の抵抗性を示した。また、病害の重症度も非遺伝子組換え植物に比べ有意に減少していることが確認された。

以上のことから、 $\beta$ -1,3-グルカナーゼはイネの紋枯病に対する抵抗性を付与する役割を担っていることが明らかとなった。

研究報告は、以下のサイトでご覧下さい。 [Transgenic Research](#)

---

## 旱魃耐性ポプラの圃場試験で良好な成績

筑波大学の研究者らは、シロイヌナズナのストレス耐性 [遺伝子](#) を導入した遺伝子組換えポプラの限定野外試験の結果を *Transgenic Research* 誌に報告した。

[旱魃](#) は、植物の成長や生産性に影響を与える生物学的ストレスである。旱魃に対する耐性を強化した樹木を開発することで、植林地を拡大し、持続的な発展を促すことができる可能性がある。小口太一助教らは、シロイヌナズナ由来のストレス応答性ガラクティノール合成酵素遺伝子 *AtGols2* を組み込んだ遺伝子組換えポプラを開発した。実験室条件では旱魃ストレス耐性が観察された。最新の研究では、遺伝子組換えポプラの樹木を、100日間降雨制限した圃場条件で試験した。また、将来の結果を予測するために、機械学習の手法が用いられた。

その結果、最も厳しいストレス条件下で、葉の傷害が有意に軽減されることが示された。また、圃場条件下で栽培した遺伝子組換えポプラでは、導入遺伝子と転写レベルが安定であった。また、*AtGols2* を過剰発現させた [ポプラ](#) は、圃場条件下でも旱魃ストレス耐性を著しく向上させた。

詳細は、以下のサイトでご覧下さい。 [Transgenic Research](#)

---

## 植物育種における革新

### 中国の研究チームがコムギの収量を向上させる新たな方法を発見

Chinese Academy of Sciences と Peking University の科学者は、APETALA2/エチレン応答性因子 (AP2/ERF) 転写因子である *DUO1* の [ゲノム編集](#) により、コムギの収量を向上させることができることを報告した。この研究成果は、*Nature Plants* に掲載されている。

[コムギ](#) は世界で最も重要な食用作物の一つである。食糧生産の向上に貢献するためには、コムギ [ゲノム](#) 中の新たな位置をピンポイントで特定し、その収量を向上させることが極めて重要である。そこで研究チームは、穂状花序の数に関わる重要な遺伝子を解析した。

研究チームは、1本の穂につく穂数が増加する *Brachypodium distachyon* の穂数変異体 *bdduo1* について調べた。さらに、*BdDUO1* が *Brachypodium distachyon* の花穂の形状の制御に果たす役割を一連の試験を通して明らかにした。そして、[CRISPR-Cas9](#) を用いてこの [遺伝子](#) を編集し、花穂の中央下部に複数の花穂を持つコムギの植物を作出した。さらに、ライブイメージングにより、ゲノム編集したコムギの基部穂状原基は、野生型に比べて細胞が多く、大きいことが確認され、この遺伝子が細胞分裂の制御に関与していることが示唆された。圃場試験では、

遺伝子組換えコムギは野生型に比べて1穂当たりの粒数が多くなり、単位面積当たりの収量増加が示された。

詳しくは以下のサイトでご覧下さい。[CAS](#) 及び [Nature Plants](#)

---

## 植物は窒素工場になることができる

University of California Davis の科学者たちは、大気中の窒素ガスを固定する化学物質をより多く生産するように穀物植物を改良することによって、過剰な窒素肥料の使用を減らすことができる持続可能な代替農法を提案している - 同じことを行う土壌細菌が使用する化学物質と同じものである。

研究チームはまず、化学物質のスクリーニングとゲノム解析を用いて、土壌細菌の窒素固定活性を高める化合物を [イネ](#) で特定した。続いて、その化合物を生成する経路を特定し、[ゲノム編集](#) によって、窒素転換を促進する細菌がいるバイオフィルムの形成に参与する化合物の生産を増加させた。その結果、窒素固定活性が向上し、植物に必要な土壌中のアンモニウムが増加しました。さらに、この経路は他の植物でも利用可能である。

この発見により、環境中の窒素汚染を減らし、水質汚染の可能性を低減し、温室効果ガスの排出を減らすことができる可能性がある。また、肥料の投入コストを削減することで、農家の収入増加にもつながる可能性がある。

詳しくは以下のサイトの論文をご覧ください。[Plant Biotechnology](#)

---

## ゲノム編集に関する特記事項

### ゲノム編集と伝統的な育種には同様のリスクがある

International Maize and Wheat Improvement Center (CIMMYT) と CGIAR の科学者は、[ゲノム編集](#) に伴う科学的リスクは [従来の品種改良](#) と同様であり、開発に関係なく、すべての新品種を試験する必要があると結論付けている。

ゲノム編集は、世界の食料安全保障、栄養改善、その他農家や消費者の付加価値向上に貢献する可能性を示している。欧州司法裁判所が [ゲノム編集作物](#) は遺伝子組換え作物とみなすべきと宣言した欧州連合のように、多くの国がその技術やゲノム編集作物の規制方法についてまだ不透明な状況にあります。一方、[米国](#)、[カナダ](#)、[ブラジル](#)、[コロンビア](#)、[アルゼンチン](#)、[リ](#)、[ケニア](#)、[ナイジェリア](#)、イスラエル、[インド](#)、日本を含む数カ国は、外来 DNA を含まないゲノム編集作物は遺伝子組換え作物として規制すべきではないと判断している。

*Nature Genetics* に掲載された論文の中で、研究者たちは、政策によって選択を可能にし、作物のゲノム編集技術がプレミアム価格を支払える人たちだけに利益をもたらすリスクを回避すべ

きだと述べている。小規模農家は、先進技術やその価値、利用方法について平等にアクセスできるようにすべきである。

詳しくは以下のサイトの論文をご覧ください。 [CIMMYT website](#)

---

### ゲノム編集されたヤギを開発

欧州各国の共同研究である「Rumigen ロジック」の努力が実り、今年初めに 3 頭のヤギの子供が健康な状態で誕生した。この子どもたちは [CRISPR-Cas9](#) 技術の成果で、ノルウェーのヤギの品種に見られる同一の対立遺伝子を [ゲノム編集](#) で再現できるかどうかを調べる研究の一環である。

この研究のもうひとつの目的は、ノルウェーヤギの品種からアルプスヤギの品種に、その品種固有の形質を維持したまま好ましい性質を導入することの効率性を比較することである。具体的には、羊やヤギの中樞神経系を侵す致死的な変性疾患であるスクレイピーに対する抵抗性を導入することである。この研究では、他の動物に見られるノルウェー品種の他の形質についても調査し、その形質が特定の対立遺伝子によるものなのか、それともその動物の遺伝的背景によるものなのかを見極めることも目的としている。

この研究は、フランスの Eliance-Fédération des entreprises au service des éleveurs と INRAE Transfert SAS、ノルウェーの Norges Miljø-og Biovitenskaplige Universitet の努力により行われている。

詳しくは以下のサイトの論文をご覧ください。 [Rumigen](#)

---

### University of California San Diego の研究者が、CRISPR を利用して世界的な害虫に狙いを定めた

University of California San Diego の研究者たちは、[CRISPR](#) 技術を利用して、貴重な食用作物を枯死させることで知られる世界的な害虫に狙いを定めた。Nikolay Kandul 氏、Omar Akbari 氏とその同僚たちは、精密誘導不妊虫放飼法 (pgSIT) を、数百万ドルの農作物被害をもたらす侵入性ショウジョウバエ (*Drosophila suzukii*) であるスズキイ (別名: 斑翅目ショウジョウバエ) に適用した。

ショウジョウバエは世界各地に侵入し、リンゴ、サクランボ、ラズベリー、ブルーベリー、イチゴ、モモ、ブドウ、オリーブ、トマトなどの作物に広く農業・経済被害を与えている。このハエは、成長中の果実の内部に卵を産み付け、増殖する。幼虫が熟した果肉を食べるため、殺虫剤の散布による防除が困難なことで知られている。

UC San Diego の研究チームは、CRISPR 編集を用いて、雌の *D. suzukii* の生存と雄の繁殖に不可欠な [遺伝子](#) をターゲットとした。pgSIT の卵は工場生産し、*D. suzukii* などの害虫が侵入

した場所に放つことができる。卵を害虫が発生している場所に直接投入すると、約 2 週間後に不妊のオスだけが孵化する。2 つの遺伝子だけがノックアウトされているので、雄は野生のハエの仲間と競争できるほど健康で、すぐに交尾する雌を探すので、結果的に子孫を残すことができない。「この技術は殺虫剤に代わるもので、対象種の個体数を抑制するだけです」と Akbari 氏は述べている。

詳しくは以下のサイトの論文をご覧ください。[UC San Diego News Center](#)

---

## FDA が CRISPR を用いた治療薬の治験を承認

ボストンを拠点に遺伝子医薬品の開発を行う非営利団体 Cure Rare Disease は、Duchenne 型筋ジストロフィーの進行を止める [CRISPR](#) ベースの治療薬の投与について、食品医薬品局 (FDA) から承認を得た。

Duchenne 型筋ジストロフィーは、ジストロフィン生成を司る [遺伝子](#) の変異によって引き起こされる稀な遺伝病である。すべての種類の筋肉が侵され、運動能力の低下、最終的には呼吸不全や心不全に至る。男性では 3,500 人に 1 人の割合で発症し、女性では極めて稀な病気である。

CRD-TMH-001 は、ジストロフィン遺伝子の筋プロモーターおよびエクソン 1 変異を治療する薬剤である。FDA の承認により、University of Massachusetts Medical School で近々投与が開始される。

この治療薬は、1 回限りの投与で済むように開発されている。この治療薬は、1 回限りの投与用に開発されたもので、静脈内に投与され、患者はコントロールできない副作用がないことを確認するために、数日間病院で観察される予定である。FDA のガイドラインに従い、患者の経過は 15 年間追跡される。

詳しくは以下のサイトの論文をご覧ください。[Cure Rare Disease](#)

---