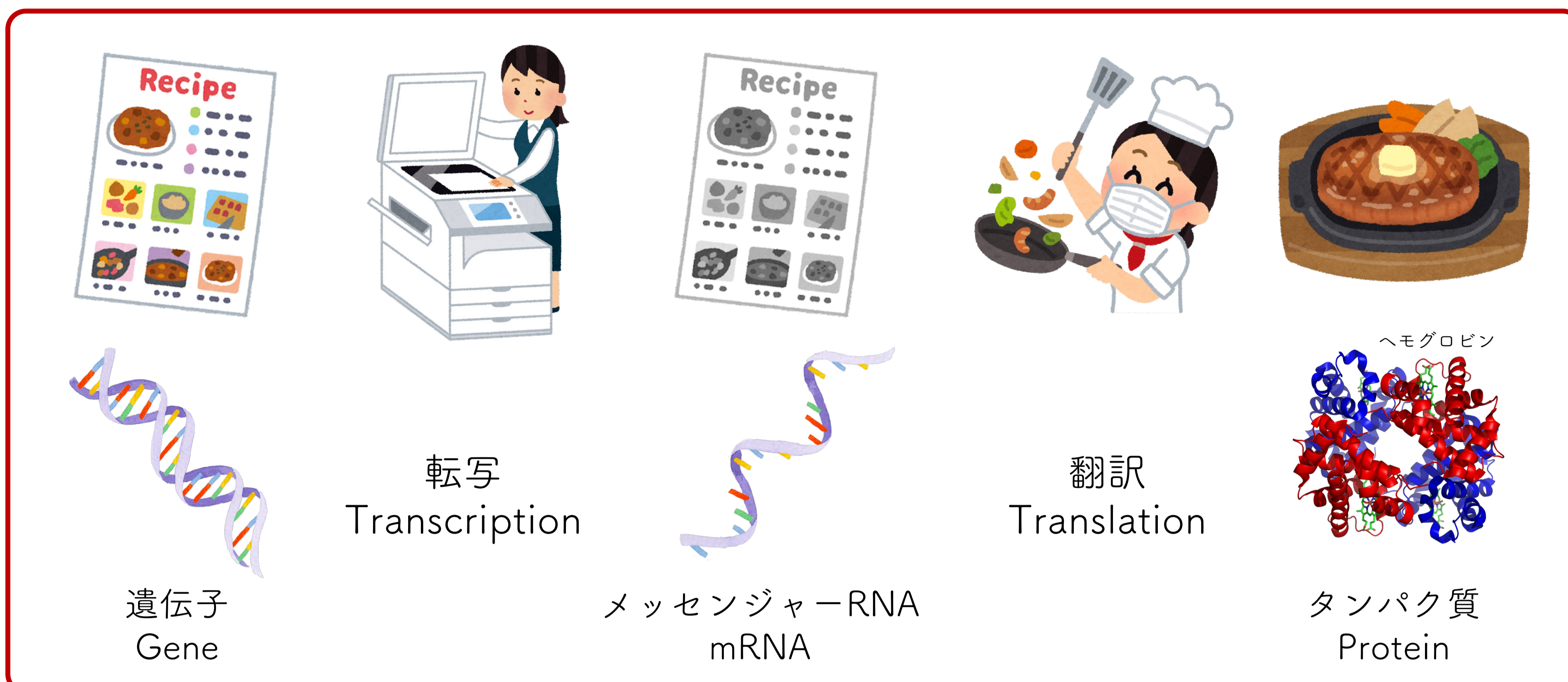
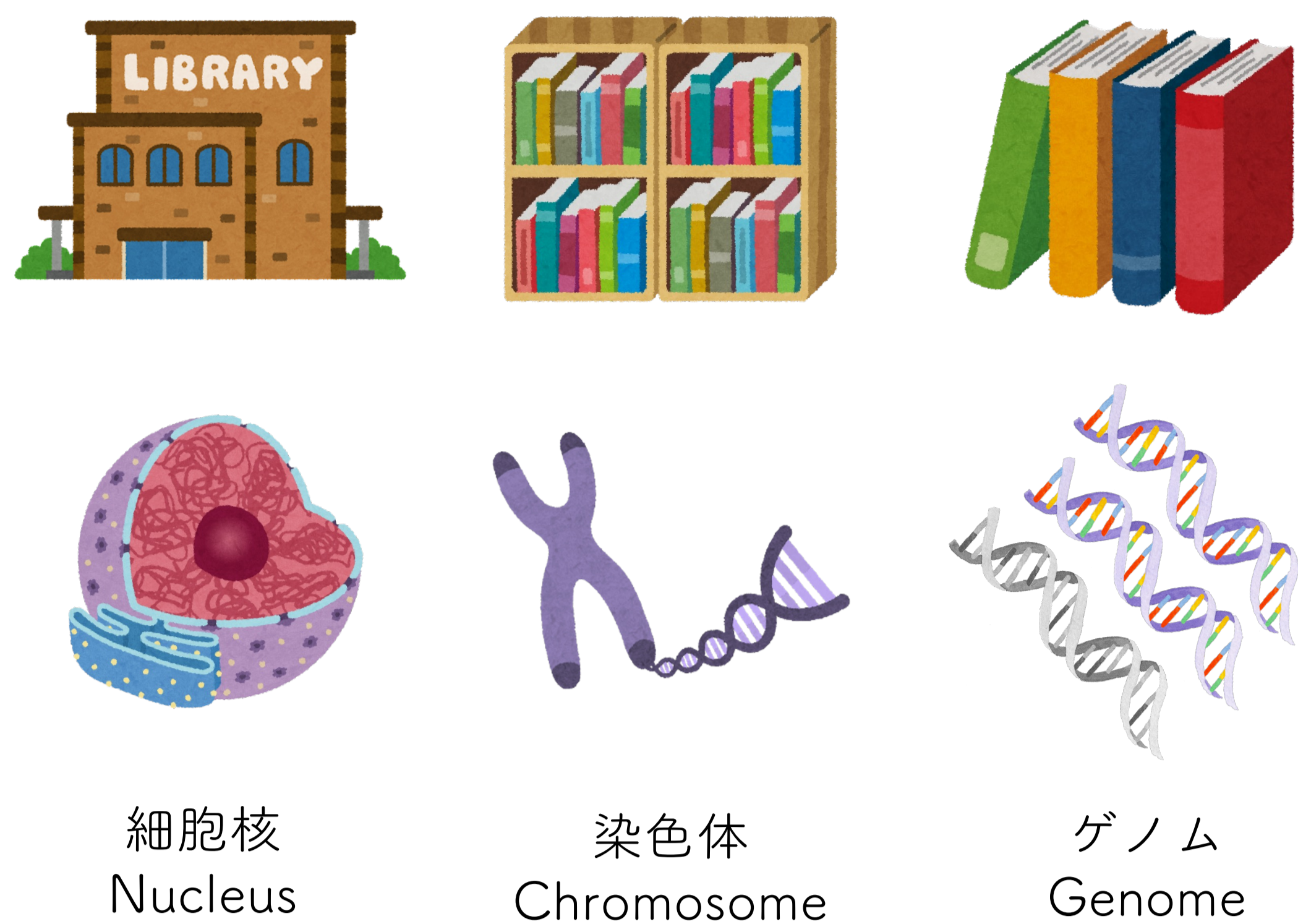


ウォルツェン研究室では「ヒトゲノムの完全制御」を目指し、iPS細胞を用いて最先端の遺伝子編集技術を開発・活用しています。まずはゲノムを理解することから始まり、変異の修正や新しい遺伝子機能の導入のために必要な技術をマスターしていくことを目指しています。あなたも私たちと一緒に挑戦してみませんか？



## ゲノムとは？

細胞はゲノムを持っています。

図書館（細胞核）には、46個の本棚（染色体）に分けてレシピ本のコレクション（ゲノム）が保管されています。

このコレクション（ゲノム）は家族代々受け継がれる大事な、約20000程度のレシピ（遺伝子）が書き込まれています。

細胞はレシピ本から料理（タンパク質）を直接作るのではありません。

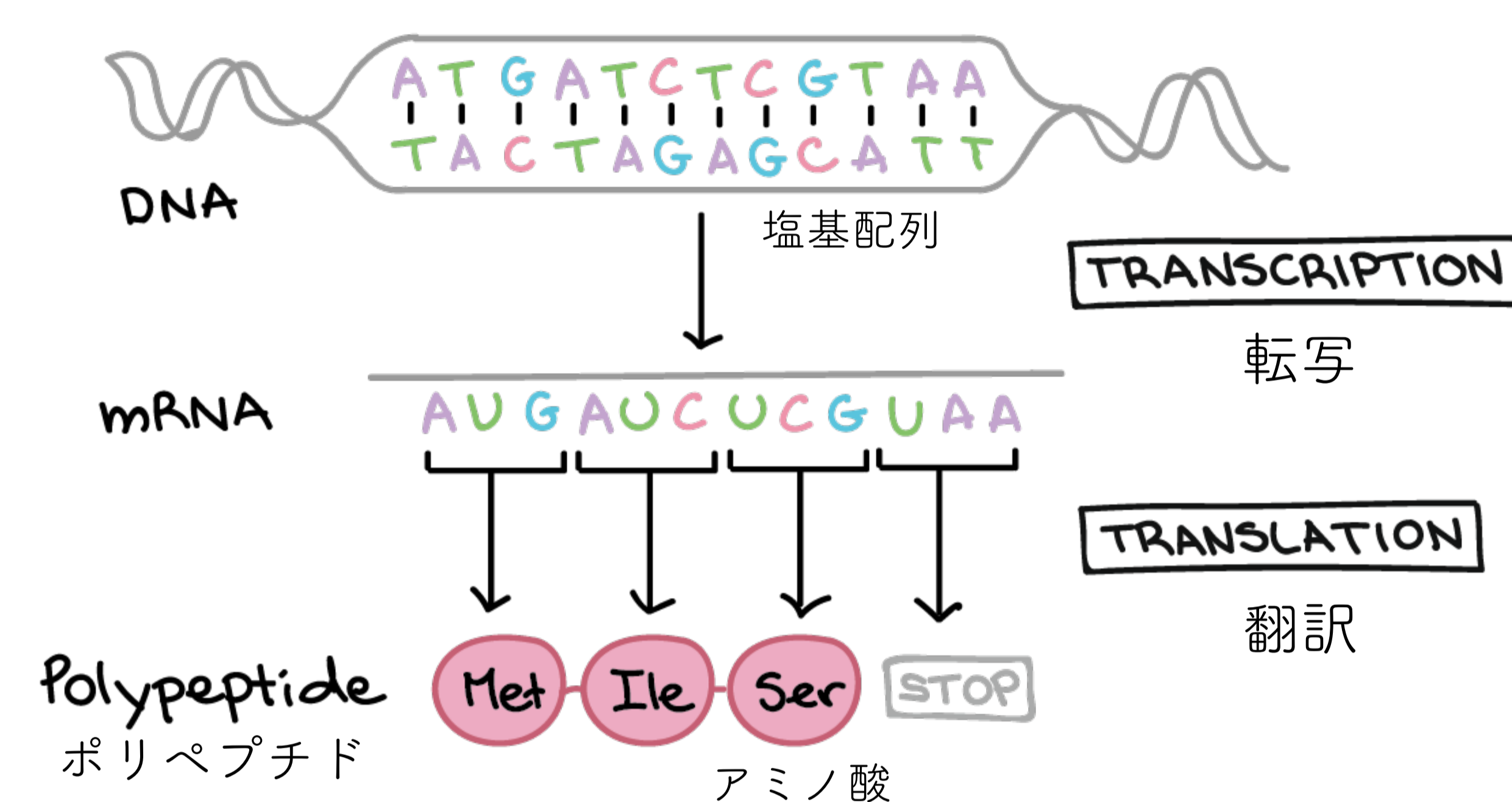
初めに選んだレシピをコピー（転写）して、そのコピー（mRNA）を使って料理（翻訳）をします。

完成した料理（タンパク質）は体の中で重要な機能を果たします。

## 1

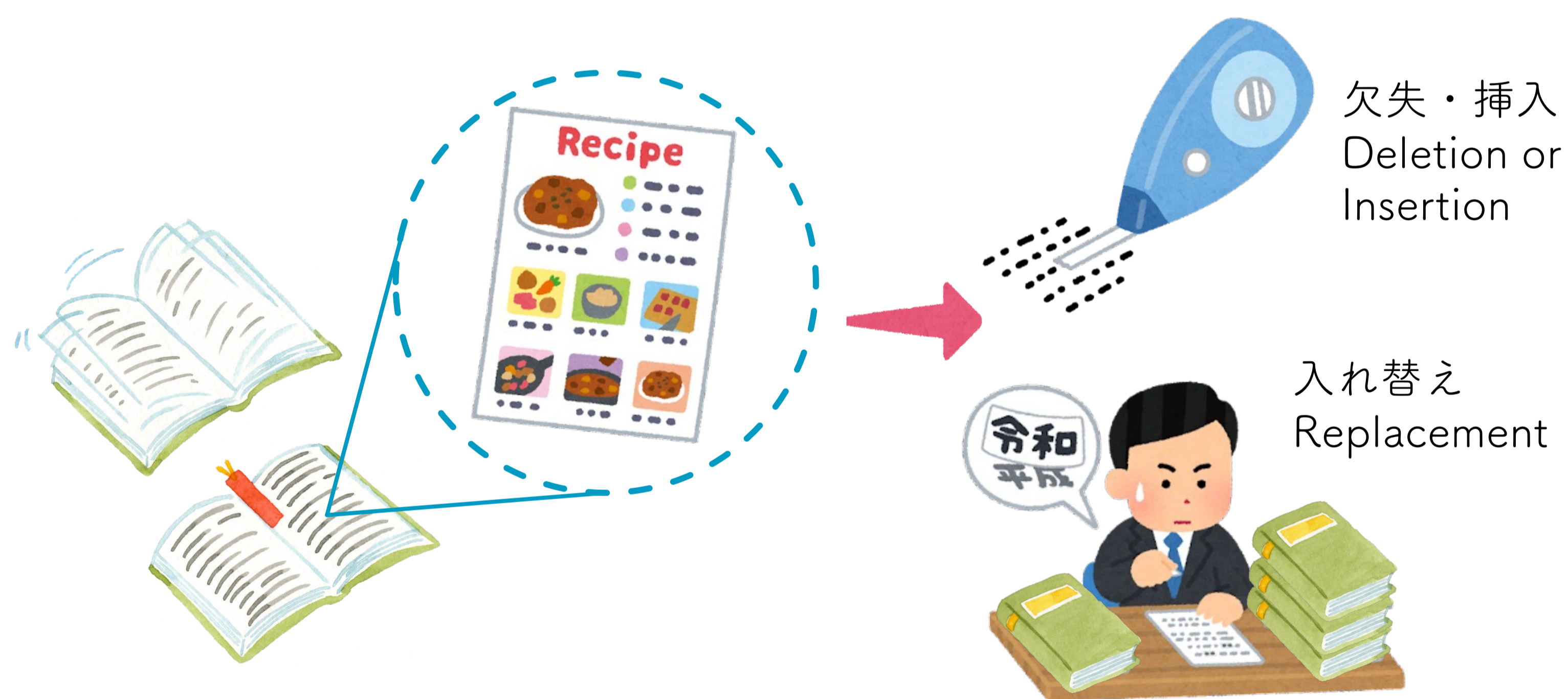
### セントラルドグマ (Central Dogma) とは？

詳しいボックス



遺伝情報が「DNA→(転写)→mRNA→(翻訳)→タンパク質」の順に伝達される、という、分子生物学の概念です。

## ゲノム編集とは？



ゲノム編集には、CRISPR-Cas9という分子ツールを使います。

このツールはまず、しおり（ガイドRNA）を使って本（ゲノム）から編集が必要なレシピ（遺伝子）の部分を決めます。

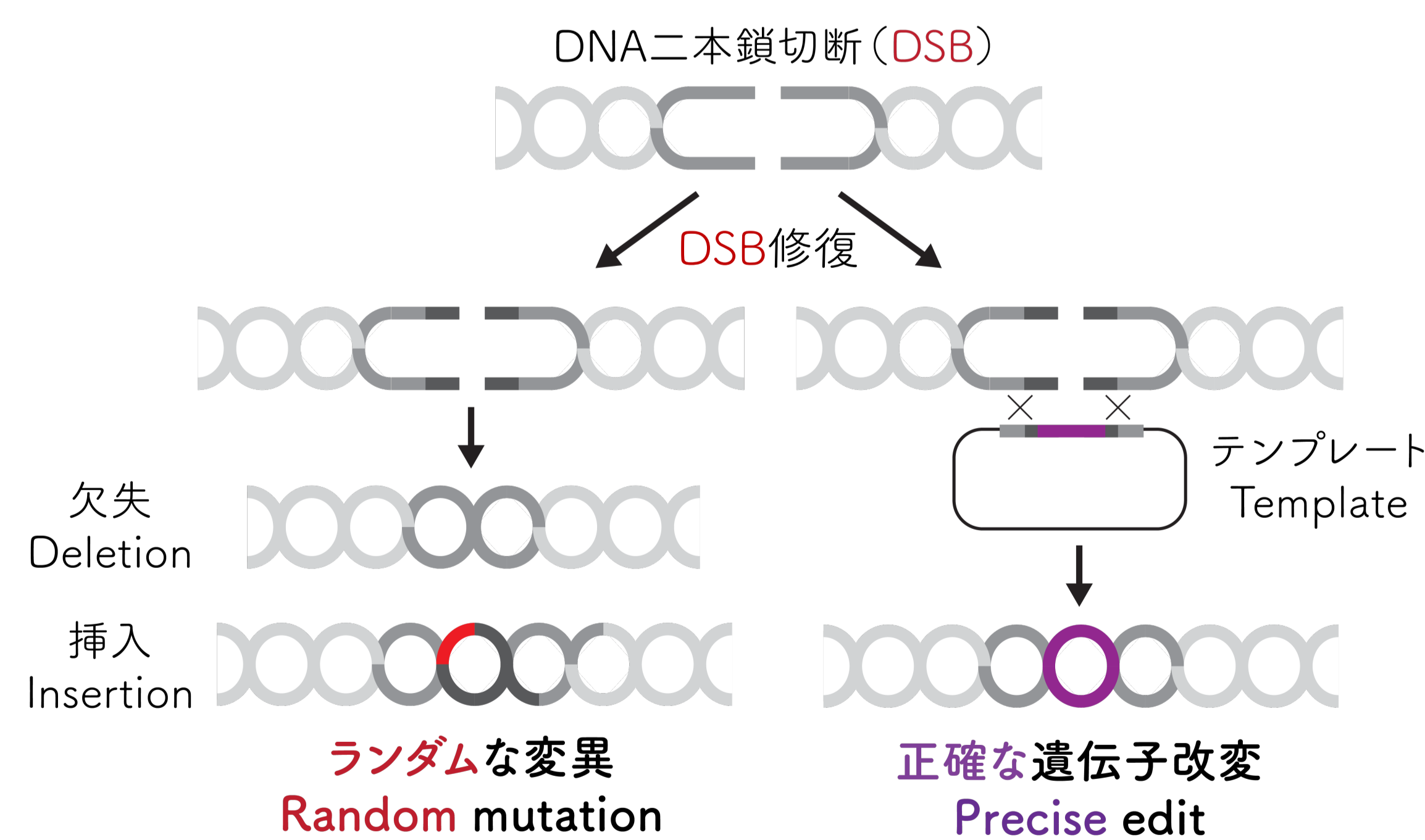
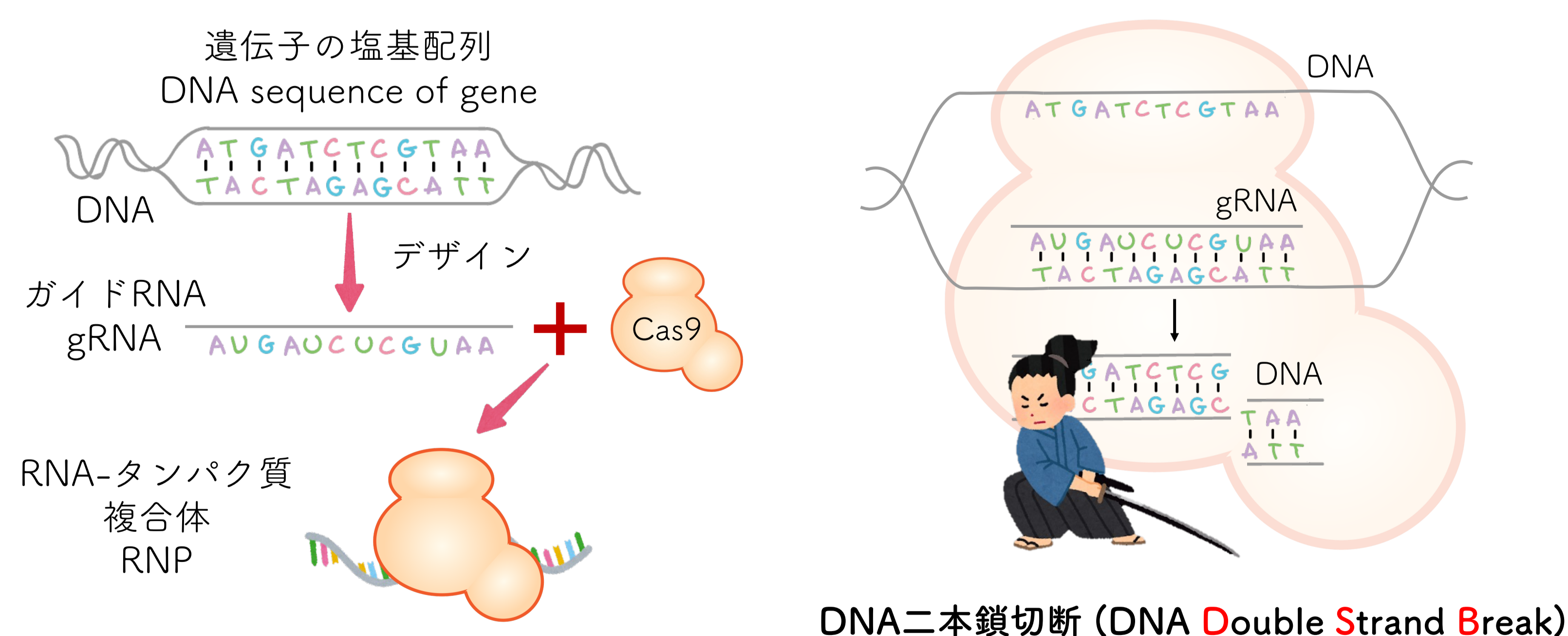
CRISPR-Cas9がその部分をターゲットすると、細胞が自ら単語を削ったり、追加したり、入れ替えてレシピを編集します。

こちらの新しいレシピから新しい料理、つまり新しいタンパク質を作ることができます。

## 2

### CRISPR-Cas9を用いたゲノム編集とは？

詳しいボックス



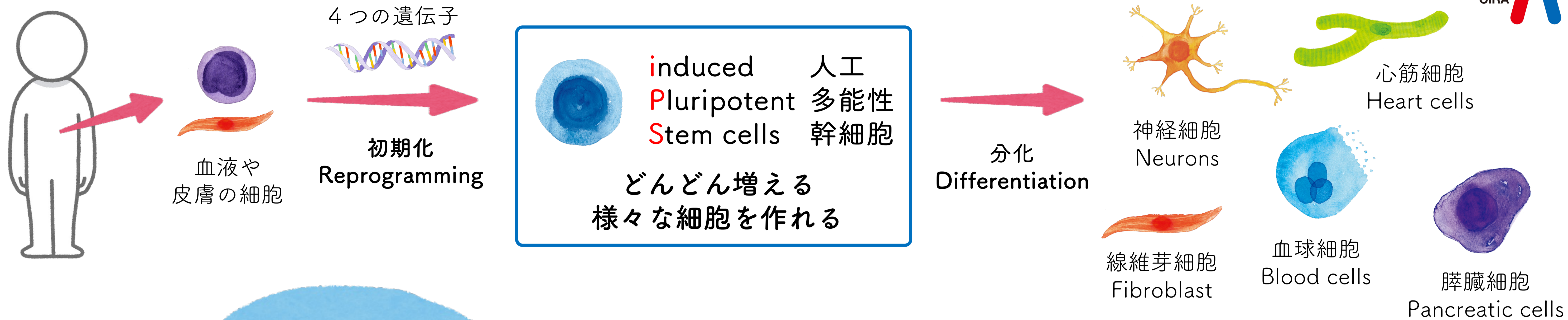
ガイドRNAとCas9ヌクレアーゼが結合したCas9複合体はガイドRNAと相補的な配列をゲノムの中から探します。標的箇所を見つけたCas9複合体は、DNA二本鎖切断 (Double Strand Break(DSB)) を起こします。

切断されたDNAは細胞の持つDNA修復機構を用いて修復されますが、その時に配列が変化することがあります。これによって、本来発現するはずのタンパク質の発現がなくなったり、機能の異なるタンパク質が発現したりします。

そこで科学者たちは、テンプレートを細胞と一緒に入れる等、修復を望ましい結果に導くための色々な方法を開発してきました。



# iPS細胞とは？



**Nobel Prize**

iPS細胞を作るために必要な4つの遺伝子は「山中因子」と呼ばれています。

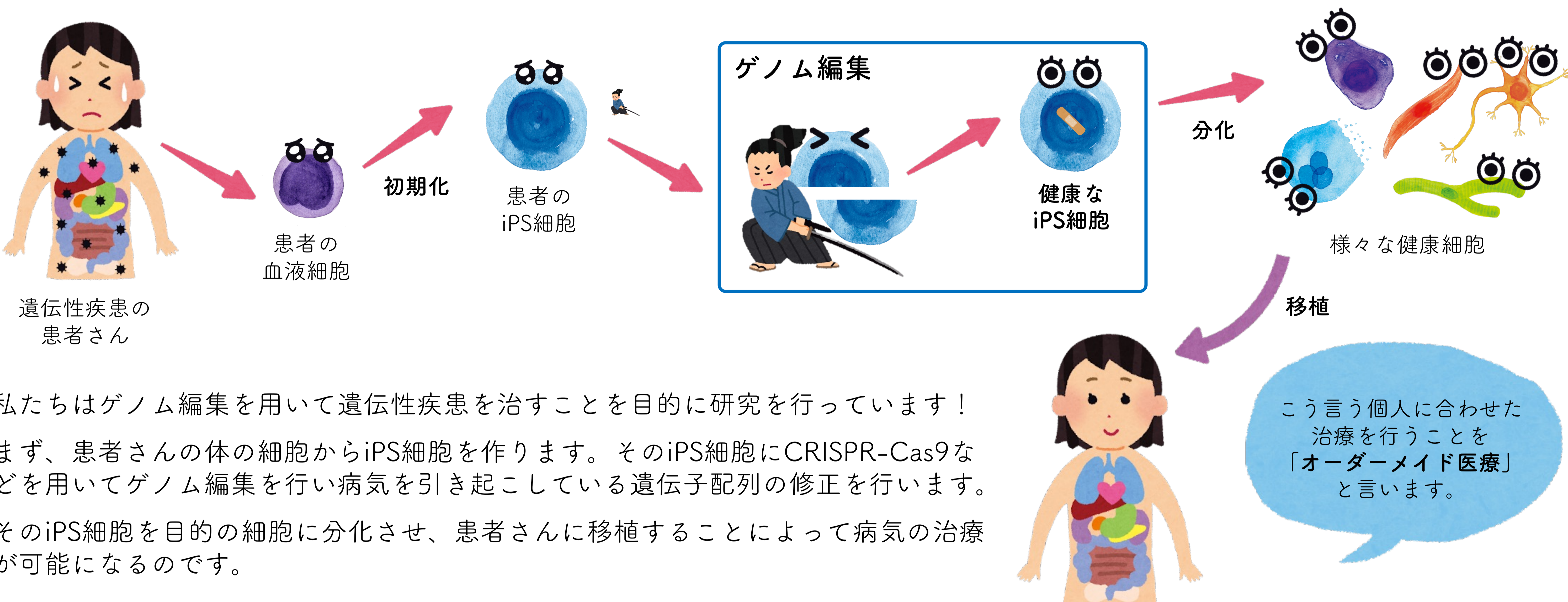
2012年ノーベル生理学・医学賞受賞  
山中伸弥 博士

人工多能性幹細胞 (iPS細胞) は身体中の様々な細胞になれる特別な細胞です。京都大学の科学者は皮膚細胞や血液細胞などの体細胞をiPS細胞にリセットする方法を発見しました。

ドナーの細胞から樹立できることからiPS細胞はドナーと同じゲノムを持っています。

つまり、あなたの血液細胞から作ったiPS細胞を神経細胞に分化させることによって、あなたから脳の細胞を取ることなく、あなたの脳について研究できるのです！

# iPS細胞とゲノム編集



私たちはゲノム編集を用いて遺伝性疾患を治すことを目的に研究を行っています！

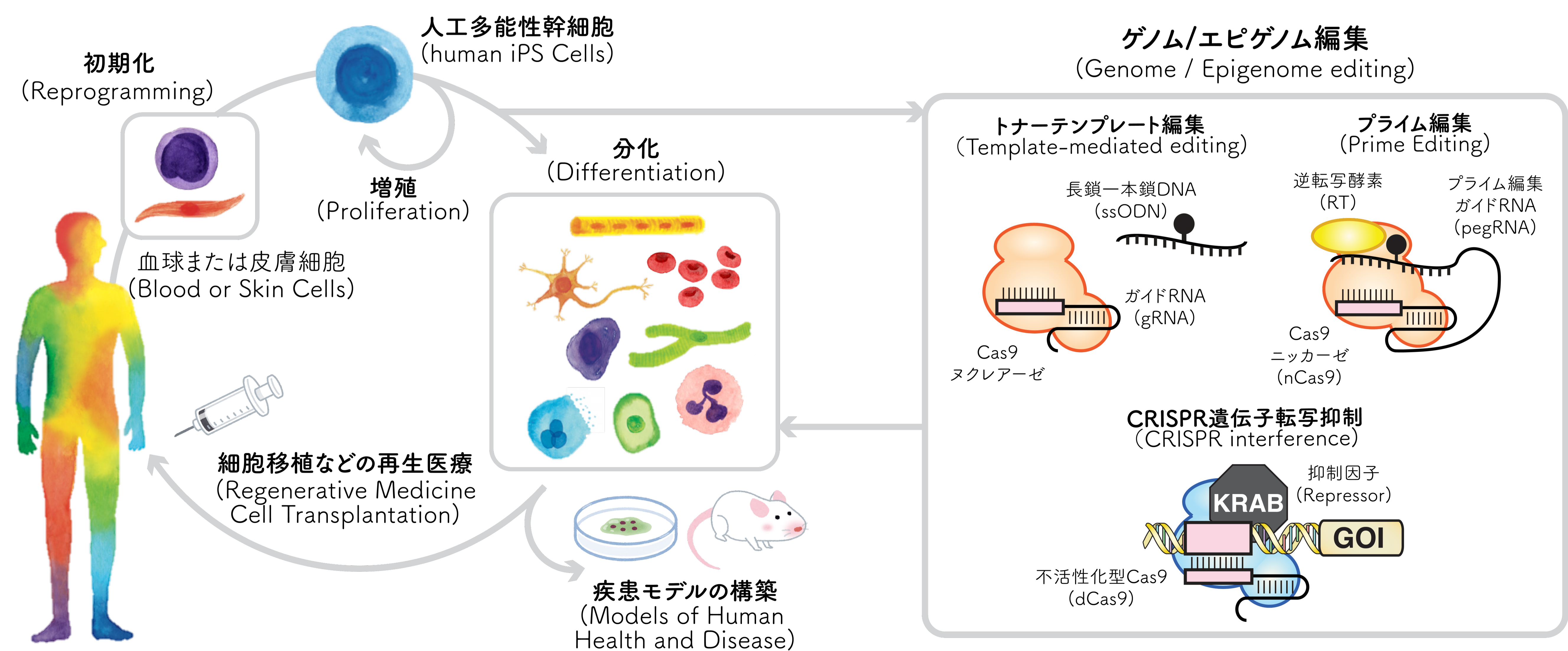
まず、患者さんの体の細胞からiPS細胞を作ります。そのiPS細胞にCRISPR-Cas9などを用いてゲノム編集を行い病気を引き起こしている遺伝子配列の修正を行います。

そのiPS細胞を目的の細胞に分化させ、患者さんに移植することによって病気の治療が可能になるのです。

こういう個人に合わせた治療を行うことを「オーダーメイド医療」と言います。

## 3 ヒトiPS細胞の樹立と再生医療への応用

詳しいボックス



ドナーの体細胞から樹立したiPS細胞はドナーと同じゲノムを持っていて、様々な細胞に分化させることができます。患者由来のiPS細胞は、遺伝子編集を用いて生体外で治療することができ、患者に投与することができます。このような細胞治療では免疫反応を引き起こしません。