

## 《研究課題名》

孤発性 ALS に対するウイルスベクター型細胞内抗体による治療法の開発研究

## 《研究対象者》

本研究開始時点において孤発性の筋萎縮性側索硬化症 (ALS) と臨床診断を受け、愛知医科大学にて剖検脊髄組織凍結切片および iPS 細胞が得られた方

## 研究協力をお願い

滋賀医科大学において上記研究課題名の研究を行います。この研究は、対象となる方の剖検脊髄組織凍結切片の溶解液を用いて行う研究であり、研究目的や研究方法は以下の通りです。試料・情報の使用について、直接ご説明して同意はいただきず、このお知らせをもって説明に代えさせていただきます。対象となる方におかれましては、研究の主旨・方法をご理解いただきますようお願い申し上げます。

なお、本研究への試料・情報の提供を希望されない場合、あるいは、本研究に関するご質問は下記 ( 8 ) の問い合わせ先へご連絡ください。

### ( 1 ) 研究の概要について

《研究期間》 滋賀医科大学学長許可日 ~ 2028 年 3 月 31 日

《研究責任者》 滋賀医科大学 脳神経内科 玉木良高

### ( 2 ) 研究の意義、目的について

#### 《意義》

本研究はヒト中枢神経組織の構造・機能を模倣する脳オルガノイドにおいて研究責任者が開発した TDP-43 伝搬モデル系を用いて、アデノ関連ウイルスベクターに組み込んだ 3B12A 細胞内抗体を導入することで、脳オルガノイド内の TDP-43 凝集体に対する分解効果・作用機序を検証するものであり、TDP-43 凝集体の蓄積を阻止する新たな治療パラダイムの構築を目指しています。本研究は神経科学の最先端分野である脳オルガノイド技術を用いて ALS の新規治療法開発に挑戦する画期的なものであり、科学的・社会的に高いインパクトを持つと考えられます。

#### 《目的》

本研究はヒト中枢神経組織の構造・機能を模倣する脳オルガノイドにおいて、ALS 剖検脊髄組織切片の溶解液を用いた TDP-43 伝搬モデル系を利用し、アデノ関連ウイルスベクターに組み込んだ細胞内抗体を脳オルガノイドに導入することで、3B12A 細胞内抗体の TDP-43 凝集体に対する分解効果・作用機序を検証することを目的としています。

### ( 3 ) 研究の方法について

#### 《研究の内容》

本研究は、滋賀医科大学を中心に愛知医科大学が協力して行う研究です。孤発性 ALS ( 合計 5 例 ) の剖

検脊髄組織の凍結試料を愛知医科大学加齢医学研究所から受領し、脊髄溶解液を作製します。愛知医科大学加齢学研究所神経 iPS 細胞研究部門から受領した iPS 細胞を脳オルガノイドに分化させ培養し、脊髄溶解液を注入して脳オルガノイドに孤発性 ALS の原因蛋白質からなる凝集体を発現させます。その後、アデノ関連ウイルスベクターに組み込んだ細胞内抗体を脳オルガノイドに導入し、細胞内抗体が孤発性 ALS の原因蛋白質からなる凝集体を分解しうるかを調べます。

**《利用し、又は提供する試料・情報の項目》**

孤発性 ALS 剖検脊髄組織の凍結切片・iPS 細胞

**《試料・情報の管理について責任を有する者》**

国立大学法人 滋賀医科大学 学長 上本 伸二

**《試料・情報の提供を行う機関の名称及びその長の氏名》**

愛知医科大学加齢医学研究所・特命研究教授・吉田 眞理

愛知医科大学加齢医学研究所神経 iPS 細胞研究部門・教授・岡田 洋平

**《試料・情報の提供を受ける機関の名称》**

国立大学法人 滋賀医科大学

**《提供する試料・情報の取得の方法》**

愛知医科大学で神経病理学的診断のために病理解剖をうける過程で取得されたものである

**《試料・情報の提供方法と提供開始予定日》**

郵送による試料提供およびパスワード保護された状態で E メールによる情報提供を滋賀医科大学学長許可日から行う

**《提供する試料・情報を用いる研究に係る研究責任者（多機関共同研究にあつては、研究代表者）の氏名及び当該者が所属する研究機関の名称》**

滋賀医科大学 脳神経内科 玉木良高

**《試料・情報を利用する者の範囲》**

滋賀医科大学 脳神経内科 玉木良高

愛知医科大学加齢医学研究所 吉田眞理

愛知医科大学加齢医学研究所神経 iPS 細胞研究部門 岡田洋平

**（４）個人情報等の取扱いについて**

本研究を実施するには、あなたの試料・情報から、あなたを特定できる情報（氏名、生年月日、住所等）を除き、代わりに本研究用の ID を付けることで、その試料・情報が誰のものであるか分からない状態にします。ただし、必要な場合に特定の個人を識別できるように、あなたと ID を結び付けることができるような加工をした情報を残します。尚、加工された情報は、施錠できる場所で担当者によ

て厳重に管理されます。

#### **( 5 ) 研究成果の公表について**

本研究の成果は学会発表、学術雑誌およびデータベースなどで公表します。公表の際には個人が特定されることがないように、十分配慮いたします。

#### **( 6 ) 研究計画書等の入手又は閲覧**

本研究の対象となる方又はその代理人の方は、希望される場合には、他の研究対象者等の個人情報及び知的財産の保護等に支障がない範囲内で本研究に関する研究計画書等の資料を入手・閲覧することができます。ご希望の場合には、下記( 8 )の問い合わせ先へご連絡ください。

#### **( 7 ) 利用又は提供の停止**

本研究の対象となる方又はその代理人の求めに応じて、対象者の方の試料・情報を本研究に利用(又は他の研究に提供)することについて停止することができます。停止を求められる場合には、下記( 8 )にご連絡ください。

#### **( 8 ) 本研究に関する問い合わせ先**

**担当者：**滋賀医科大学 脳神経内科 玉木良高

**住所：**520-2192 滋賀県大津市瀬田月輪町

**電話番号：**077-548-2160

**メールアドレス：**ymtamaki@belle.shiga-med.ac.jp