

## Dantrolene 論文のご紹介

論文の紹介です。

Dantrolene Enhances Antisense-Mediated Exon Skipping in Human and Mouse Models of Duchenne Muscular Dystrophy. *Sci. Transl. Med.* 4, 164ra160 (2012).

現在も安全に人に投与されているダントロレンが、デュシェンヌ型筋ジストロフィーでアンチセンスオリゴによるエクソスキップの効率を上げるという報告です。この中で Ryanodine と Rycal S107 もダントロレンと同様にアンチセンスオリゴによるエクソスキップの効率を上げる作用があり、これらの薬剤が作用する ryanodine receptor が分子標的として重要かもしれないと述べています。

また、この研究を行っている Dr. Stan Nelson と Dr. Carrie Miceli の息子 Dylan が DMD であることも紹介されています。自分たちの研究が息子だけでなく他のたくさんの DMD 患者に届くことを希望している、と Carrie の言葉が伝えられています。

<http://www.sciencedaily.com/releases/2012/12/121212141804.htm>

Citation: G. C. Kendall, E. I. Mokhonova, M. Moran, N. E. Sejbuk, D. W. Wang, O. Silva, R. T. Wang, L. Martinez, Q. L. Lu, R. Damoiseaux, M. J. Spencer, S. F. Nelson, M. C. Miceli, Dantrolene Enhances Antisense-Mediated Exon Skipping in Human and Mouse Models of Duchenne Muscular Dystrophy. *Sci. Transl. Med.* 4, 164ra160 (2012).

<http://stm.sciencemag.org/content/4/164/164ra160.full.pdf>

Remudy ニュースレターは、筋ジストロフィー・神経筋疾患の研究や診療の情報などを e-mail でお届けしています。今回のように、皆さんに紹介したい情報がみつかりましたら、お気軽に Remudy 事務局に教えてください。よろしくお願いします。

文責:Remudy 事務局 木村 円