

# ATP 合成酵素活性化剤による新規 ミトコンドリア病治療法の開発

大学院医学系研究科・医化学講座

助教 加藤 久和



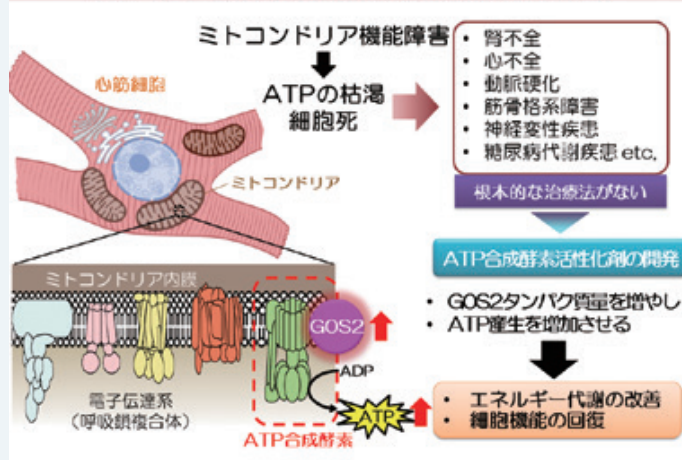
## ▶ 特徴・独自性

加藤助教らのチームが研究対象とする心臓は、刻々と変化する全身の循環血液需要に対応して即座に適応しなければならず、全身の臓器の中で最もエネルギー（ATP）を消費する臓器である。加藤助教らは近年、心臓のエネルギー代謝を解析する重要な技術として生きた心臓の ATP 動態の可視化方法確立した。これまでは細胞破碎後しか測れなかった細胞内 ATP 量を、生きた細胞で測定できる方法である。この技術を駆使して、ミトコンドリアにおける ATP 産生の調節分子「GOS2（ジーゼロエスツー）」を新たに同定し、GOS2 が ATP 合成酵素を調節して ATP 産生を上昇させ臓器保護的に働くことを明らかにした。

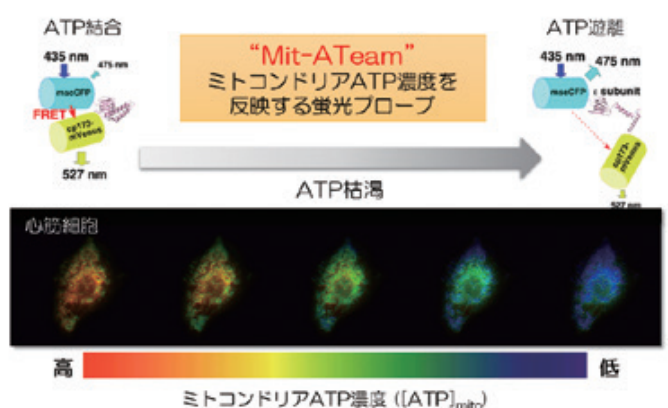
## ▶ 社会実装と実用化への可能性

GOS2 は、ミトコンドリアの機能不全により ATP 産生が障害される疾患の治療標的になると考え、ミトコンドリア病の新たな治療法の開発に着手した。ミトコンドリア病は、その患者数が 10 万人に数人の希少難病だが、未だ根本的な治療法は存在せず、革新的な治療法の開発が期待される。GOS2 タンパク質の「量を増やす」薬剤のスクリーニングにより、「GOS2 の量を増やし」、「ATP 産生を上昇」させるヒット化合物を見出した。現在はヒット化合物の最適化と動物モデルでの薬効評価を進めている。

### ミトコンドリア病の新たな治療法開発に向けて



### 生きている細胞でATPの変化を見る技術



(京都大学・今村博臣教授との共同研究)

特許

論文

Kioka, K., Kato, H. et al. Proc Natl Acad U S A 2014;111(1):273-8  
Kamikubo, K., Kato, H. et al. J Biol Chem 2019;294(40) 14562-14573

参考 URL

大阪大学大学院医学系研究科・生命機能研究科 医化学講座 <http://medbio.sakura.ne.jp/>

キーワード

ミトコンドリア病、ATP 合成酵素、エネルギー代謝、GOS2