

## Reconsideration about VPA administration clinical trials for spinal muscular atrophy from transcription point of view

メタデータ	言語: jpn 出版者: 公開日: 2020-01-20 キーワード (Ja): キーワード (En): 作成者: 高野, 梢 メールアドレス: 所属:
URL	<a href="https://doi.org/10.20780/00032401">https://doi.org/10.20780/00032401</a>

様式 (6)

## 学 位 審 査

学 位 番 号	甲 第 704 号	氏 名	高野 梢
審 査 委 員 会	主 査 教 授	山本 俊至	
<p>論文審査の要旨 (400 字以内)</p> <p>脊髄性筋萎縮症患者を対象としたバルプロ酸による治療効果を検討した医師主導治験の結果、バルプロ酸に反応する例とそうでない例が存在することが見出された。この 2 群の差に着目してバルプロ酸の作用機序を明らかにすることを旨とした意欲的な研究である。2 群間の RNA 発現の差を解析した結果、スプライシングに影響する遺伝子群の発現に差があり、最終的に 2 つのスプライシング関連遺伝子がバルプロ酸と関連している可能性を明らかにした。本研究結果は、単に脊髄性筋萎縮症に対するバルプロ酸の有効性を強調するものではなく、プライシング関連遺伝子の作用によってスプライシングバリエーションの発現差に影響するメカニズムを明らかにしたという点で意義がある。</p> <p>本要旨は当該論文が第二次審査に合格した後の 1 週間以内に医学部学務課へご提出下さい。(本学学会雑誌に公表) [学校教育法学位規則第 8 条]</p>			