

研究概要

膠様滴状角膜ジストロフィ (Gelatinous drop-like corneal dystrophy; GDL) は角膜上皮下にアミロイドが沈着して視力が著しく低下する最重症の遺伝性角膜ジストロフィである。本疾患は生涯を通じて進行し、重症例では失明に至る場合も少なくない。

我々はクロロゲン 1 および 7 が細胞内で凝集することに着目し、GDL に対する低分子治療薬を開発するための病態モデル細胞を作製した。現在病態モデル細胞を用いて一次スクリーニングを行っており、ヒット化合物については二次アッセイによって絞り込み、さらに疾患モデルマウスを用いて *in vivo* における有効性について検討し GDL に対する治療薬を得たいと考えている。