

## 【研究概要】

神経変性疾患である筋萎縮性側索硬化症(ALS)と前頭側頭型認知症(FTD)は、遺伝学的・病理学的な研究から共通分子発症メカニズムが考えられているが、詳細は未解明で、有効な治療薬がない。*C9orf72* 遺伝子異常は最も高頻度な ALS/FTD(C9-ALS/FTD)の発症要因である。そこで ALS/FTD の治療薬開発を目指して、C9-ALS/FTD 培養細胞モデルを利用して化合物スクリーニングを行っている。