

## 研究課題別事後評価結果

1. 研究課題名: iPS 細胞を駆使した神経変性疾患病因機構の解明と個別化予防医療開発

2. 研究代表者名及び主たる研究参加者名 (研究機関名・職名は研究参加期間終了時点):

研究代表者

井上 治久(京都大学 iPS 細胞研究所 教授)

主たる共同研究者

岩田 修永(長崎大学大学院医歯薬学総合研究科 教授)

戸田 達史(神戸大学大学院医学研究科 教授)

須原 哲也((独)放射線医学総合研究所 プログラムリーダー)

3. 事後評価結果

遺伝性の神経変性疾患由来のiPS細胞樹立に成功し、薬剤スクリーニングに用いる病態を反映した神経細胞誘導や培養条件の検討、遺伝子発現や代謝系など多岐にわたる解析を着実に進めた。また、新規タウプローブを創出し、ヒト脳内で多様なタウオパチー病変を可視化し早期診断技術の開発に貢献しうる知見を得た。

創薬分野での疾患iPS細胞活用の先導的役割を果たし、社会的にも注目される疾患を対象として大きなインパクトを示したが、現段階では既知の科学的知見を超える成果の創出には至っていない。本疾患iPS細胞及び分化誘導系が確立され、これまで中枢神経系の疾患では困難であった臨床試料を用いた研究が可能となったことは大きなメリットである。今後はそれらを活かした新しい分子やメカニズム等の発見が期待される。

相補的な関係を持ったグループで効率よく分担して研究が進められた他、開発された筋萎縮性側索硬化症に対する治療薬シーズ同定技術の臨床医や製薬企業への技術移転が行われネットワークが形成された。

神経変性疾患の病態解明や創薬スクリーニングにおける疾患iPS細胞の有用性を示す、優れた成果を創出した点は評価される。競争の激しい領域であり、今後はより一層の独創的なアプローチや創薬分野との共同研究をもって、最終目標である早期診断・早期治療に向けた新たな発見を達成していただきたい。