再生医療実現拠点ネットワークプログラム　中間評価報告書

プログラム名	疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究　樹立拠点
拠点名	疾患特異的 iPS 細胞樹立促進のための基盤形成
代表機関名	京都大学
研究代表者名	山中　伸弥

1. 研究概要

iPS 細胞は、患者を含む特定の個人由来の多能性幹細胞として樹立できる点で画期的であり、患者から樹立されたiPS細胞（疾患特異的iPS細胞）を用いた難治性疾患の病態解析、創薬、治療法開発が期待されている。一方で、リプログラミング技術の発展とともにヒトES細胞/iPS細胞の遺伝子改変技術も進歩を遂げており、これらの細胞の遺伝子改変を行って疾患・病態解析が行われる時代の到来が予測される。

このような状況において本拠点は、様々な疾患特異的 iPS 細胞の樹立、及び疾患責任遺伝子に改変を加えたヒト iPS 細胞の作製を行い、それらの細胞を公的な細胞バンクに寄託し、我が国における疾患解析や創薬研究等の研究基盤の確立を目指す。

2. 評価結果

現在までの進捗・成果

a）進捗状況について

医療機関との連携によりこれまでに収集した試料に関して、疾患特異的 iPS 細胞の樹立、寄託、細胞の品質管理に向けた取り組み等が順調に進捗している点は評価できる。しかし、事業終了までに 200 以上の疾患について疾患特異的 iPS 細胞を樹立し、寄託することが本拠点の目標であるが、試料収集先の一部の医療機関との連携体制の構築が遅れたことなどにより、疾患特異的 iPS 細胞を樹立した疾患数において進捗の遅れが見られる。

以上により、本拠点の進捗は当初計画・目標からやや下回っていると判断される。

b）成果について

疾患特異的 iPS 細胞の支持細胞を用いない樹立方法、一連化した樹立作業工程の構築や、ゲノム編集技術による遺伝子改変 iPS 細胞を作製する技術の確立などは優れた成果であり、これらの技術により樹立・作製された細胞の寄託が進むと各疾患の病態解明に大きく役立つと期待される。

以上により、本拠点の成果は良好であると評価される。

c）研究体制、運営等について

多忙な代表研究者に代わって本拠点をマネジメントする権限を有する者を早急に選定する必要がある。試料収集先の一部の医療機関と連携体制の構築が遅れたものの、患者ドナーへのインフォームドコンセント説明資料作成等において、拠点内の研究者や共同研究拠点との連携は効果的に進められており、樹立拠点としての機能を果たしている点は評価できる。

以上により、本拠点の研究体制、運営等は適切であると評価される。

総合評価

本拠点の目的は多種多様な疾患から疾患特異的 iPS 細胞を樹立して細胞バンクの充実を図ることである。平成 26 年度中に累計 100 症例で疾患特異的 iPS 細胞の樹立、寄託が完了する見込みであるなど、全体としては順調に進捗している。細胞バンクの多様性を増すために、出来るだけ多くの疾患について iPS 細胞を樹立することが期待される。

以上により、本拠点の進捗・成果は良好であると評価される。