

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 共同研究拠点
拠点名	高品質な分化細胞・組織を用いた神経系および視覚系難病の <i>in vitro</i> モデル化と治療法の開発
代表機関名	独立行政法人理化学研究所(平成 24 年 4 月～平成 26 年 9 月)、京都大学(平成 26 年 10 月～)
研究代表者名	笹井 芳樹(平成 24 年 4 月～平成 26 年 9 月)、井上 治久(平成 26 年 10 月～)

1. 研究概要

本拠点では、京都大学と理化学研究所がこれまで再生医療などの開発を通して蓄積してきたヒト iPS 細胞の樹立技術、分化技術、純化技術などを応用して、神経系および視覚系の疾患モデル細胞・組織を形成する。それらを厚生労働省難治性疾患研究班(以下、難治性疾患研究班と呼ぶ)の臨床研究者に技術提供することで、未だ病因・病態に不明な点が多い神経系および視覚系の難治性疾患に対する研究の推進と画期的な治療法の開発への貢献を目指すものである。京都大学が「神経系難治性疾患」、理化学研究所が「視覚系難治性疾患」、「神経内分泌系難治性疾患」および「神経系難治性疾患」を担当し、かつトップクラスの臨床研究者が参加・研究連携を行うことで、高い国際競争力を生み出し、成功例を創出することが期待される。さらに、こうした基盤を国内の創薬企業での研究開発にも広げ、難治性疾患・稀少疾患に対する治療薬の開発を大幅に加速することを目指している。

2. 評価結果

現在までの進捗・成果

a) 進捗状況について

理化学研究所が担当している視覚系難治性疾患、神経内分泌系難治性疾患の疾患特異的 iPS 細胞の樹立数が 18 件、細胞寄託数も 2 件と、進捗状況はほぼ良好である。また、ES 細胞を用いた分化誘導法については、下垂体前葉への効率的な培養技術を開発し、難治性疾患研究班への技術移転を完了するなど、良く進展している。しかし、疾患特異的 iPS 細胞を用いた疾患モデル作製では、一部疾患において研究進捗に遅れがみられる。一方、京都大学が担当している神経系難治性疾患においては疾患特異的 iPS 細胞の樹立数が 155 件、細胞寄託数も 28 件と概ね順当に進展している。

以上により、本拠点の進捗は当初計画・目標をほぼ達成していると評価される。

b) 成果について

京都大学では神経系難治性疾患における疾患特異的 iPS 細胞の樹立が進んでおり、一定の成果を挙げている。また、論文投稿においては 29 件と優れており、特許出願も 4 件と知的財産への配慮もなされている。製薬企業の参画についても 5 件と順調である。しかしながら、視覚系難治性疾患、神経内分泌系難治性疾患の課題などでは進捗の遅れから、評価できる成果が得られていない項目が散見される。また、樹立した疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態解明や創薬スクリーニングの研究も遅れているため、明確な目標を持って進めることが望まれる。

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

神経内分泌系難治性疾患においては、順調に研究が進められているが、視覚系難治性疾患、神経内分泌系難治性疾患の課題において進捗の遅れが散見された。これらの研究進捗を鑑みると、研究が適切に把握・管理されていたとは言い難い。突発的な事情もあったが、研究体制は不十分であったと言える。一方で、京都大学を代表機関、理化学研究所を分担機関とする新体制では、情報交換が活発化する等、状況は改善されつつある。

以上により、本拠点の研究体制、運営等はやや不十分であると判断される。

総合評価

視覚系難治性疾患の課題においては理化学研究所の特殊な事情により中断を余儀なくさせられるなど、進捗の遅れが見られる。現状、疾患特異的 iPS 細胞を用いて、画期的な病態解明や創薬に結びつくような研究成果が具体的に得られていないため、目標を達成し得るかどうか判断し難い。一方で、神経系難治性疾患の課題はほぼ予定通りに進んでいる。また、京都大学および理化学研究所の連携体制は相互の優れた技術を補完し得るものである。製薬企業の参画も順調であり、今後は産業界とのなお一層の協業により成果の創出が期待される。

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。