

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	難治性血液・免疫疾患由来の疾患特異的 iPS 細胞の樹立と新規治療法開発
代表機関名	京都大学
研究代表者名	中畑 龍俊

1. 研究概要

本拠点は、疾患特異的 iPS 細胞を用いて、難治性血液・免疫疾患の病態解明、新たな治療の開発を目指し、15 の厚生労働省難治性疾患研究班(以下、「難治性疾患研究班」)と連携し、25 疾患から疾患特異的 iPS 細胞の樹立を行うこととしている。

担当分野は血液・免疫細胞(血球系)分野である。iPS 細胞由来の血球分化系では、胎児期造血を再現するほか、成熟血球の機能解析も十分可能であることが判明しており、iPS 細胞を用いた病態解析が疾患の本態に迫る研究になり得ると期待される。また、血液疾患の根治的治療は、多くの場合、造血幹細胞移植に頼っており、より低侵襲の特異的治療が多くの疾患で望まれている。

また、代表機関と分担機関が連携・分担して講習会等を実施し、iPS 細胞技術の普及にも貢献している。

2. 評価結果

現在までの進捗・成果

a) 進捗状況について

11 疾患 20 症例から 41 株の疾患特異的 iPS 細胞を樹立し、品質確認後、23 株を理化学研究所バイオリソースセンターに寄託するなど、比較的順調に進んでいる。また、応用方面ではハイスループットスクリーニングの系も構築しており、今後の候補化合物の取得に向けて期待できる。一方、EB ウイルスを用いた不死化リンパ球からの疾患特異的 iPS 細胞樹立については、特性を検証する必要がある。

以上により、本拠点の進捗は当初計画・目標を達成していると評価される。

b) 成果について

骨髄異形成症候群からの疾患特異的 iPS 細胞樹立と病態解析の成果は評価できる。また、ファンconi 貧血については候補化合物を同定した。疾患特異的 iPS 細胞由来の分化細胞を用いた指標により、効果を示す化合物が見出されたことは評価できる。どのような細胞を用意して、どのような評価・測定系を構築するかは疾患ごとに異なる難しい問題になると思われるが、それらのモデルとも位置付けられる。今後の血液疾患の病態解明とその治療薬開発への応用が期待できる。また、論文発表、製薬企業の参画、技術移転・普及活動などが着実に行われている。

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

代表機関と分担機関、難治性疾患研究班の連携を図り、代表機関では難治性疾患研究班の施設から複数の研究員を受け入れている。また、製薬企業からも研究員の受け入れが1社あることから、推進体制・運営はよく検討されていると評価できる。

一方、製薬企業との連携体制を一層強固なものにし、参画企業を増やすことが望まれる。

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

今後の血液疾患の病態解明とその治療薬への応用が期待できる。ほぼ計画通りに進捗し、応用に向けてはハイスループットスクリーニングの系も構築しており、今後の候補化合物の取得に関して、目標を達成することが期待できる。

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。