



文部科学省  
MEXT  
MINISTRY OF EDUCATION,  
CULTURE, SPORTS,  
SCIENCE AND TECHNOLOGY-JAPAN

# 疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究 事業概要

文部科学省研究振興局ライフサイエンス課

# 事業の概要

## 背景・現状

疾患特異的iPS細胞を用いた疾患研究、創薬は、世界的に非常に注目されており、我が国においても普及を加速させる必要がある。

## 課題

- ・ 疾患特異的iPS細胞の樹立、分化技術の普及が限定的
- ・ 疾患特異的iPS細胞バンクの利用は、様々な要因により進んでいない
- ・ 多くの研究者に影響を与えるような疾患特異的iPS細胞を用いた創薬のgood practiceが現時点ではない

**技術普及、バンクを活用した利用促進、good practiceの創出が必要**

※アンメットメディカルニーズが特に高い、難治性・希少性疾患を主な対象として実施

## 募集予定内容

- **疾患特異的iPS細胞を樹立・分化する拠点機関と難治性疾患研究班の研究者、製薬企業からなる、共同研究として疾患研究・創薬を実施する研究チーム（＝共同研究拠点）**
- **国内の研究機関、医療機関から患者体細胞の提供を受け、疾患特異的iPS細胞を樹立し、体細胞提供者への提供およびバンクへの寄託を行う拠点（＝樹立拠点）**

# 「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」実施体制

PD: 葛原茂樹(鈴鹿医療科学大学)

PO: 赤澤智宏(東京医科歯科大学)、小林健一郎(国立成育医療研究センター)

吉松賢太郎(日本製薬工業協会)

アドバイザー: 西川伸一  
(理化学研究所)

拡大運営委員会: 事業の方針や連携体制の情報共有  
事業全体の進捗確認

## 課題運営委員会

研究進捗確認、情報共有、共同研究体制の推進、等

### 樹立拠点



研究機関



医療機関



研究機関

全国の研究機関等から体細胞の提供を受け、  
疾患特異的iPS細胞を樹立、バンクに寄託

### 寄託

疾患iPS細胞バンク



公開、配布

## 課題運営委員会

研究進捗確認、情報共有、共同研究体制の推進、等

### 共同研究拠点

神経系拠点、  
循環器系拠点, etc.

疾患・創薬研究機関

疾患・創薬研究機関

【厚労省難病班】

参画・連携

製薬企業

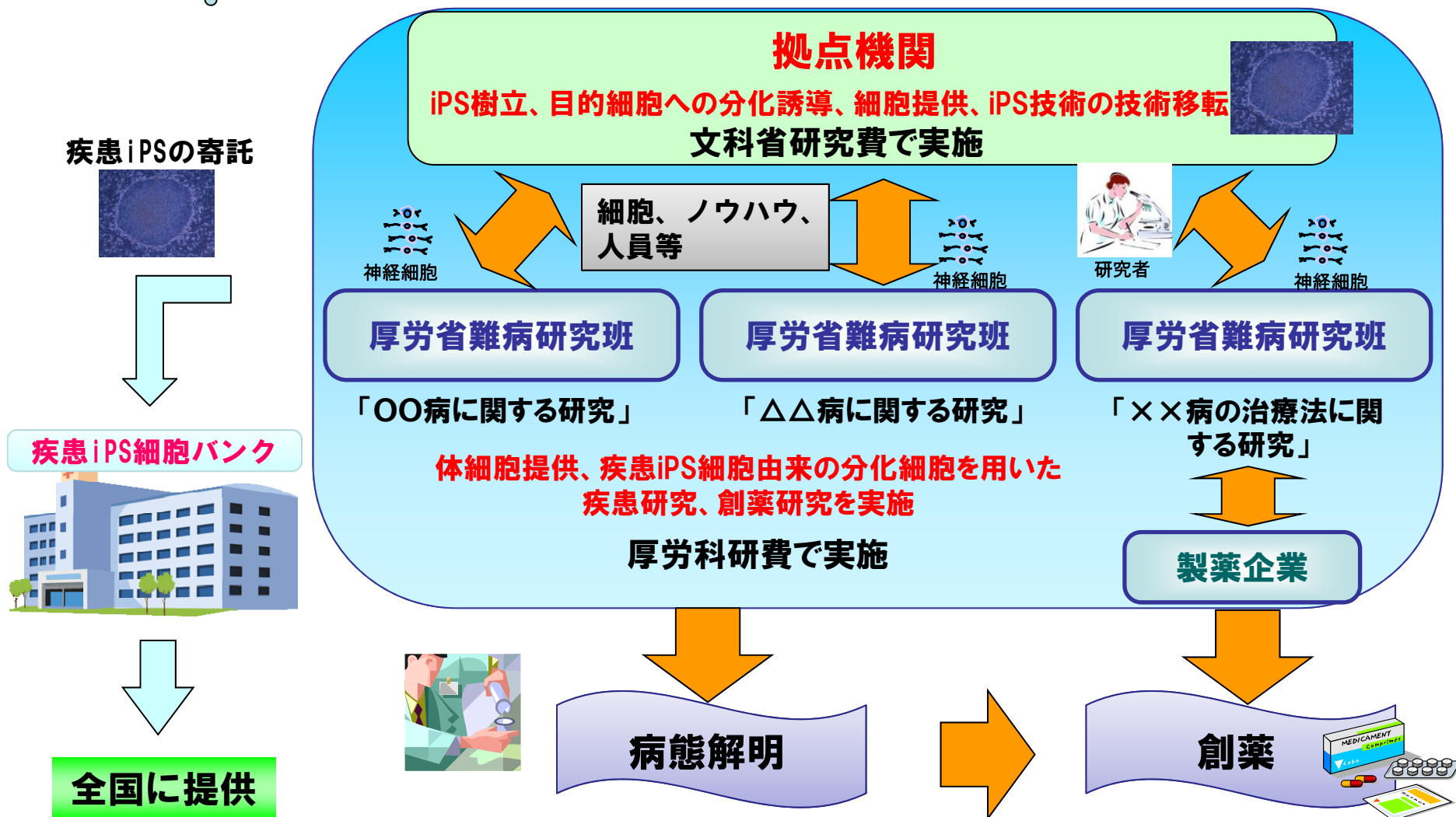
難治疾患克服研究事業との連携で、難治性  
疾患・希少性疾患の疾患研究、創薬を実施

高品質な疾患iPSバンクの充実、  
国内での疾患、創薬研究の促進

疾患iPS細胞による創薬、疾患研究の促進  
疾患特異的iPS細胞技術の普及

# 共同研究拠点のイメージ

拠点機関、難病研究班、製薬企業で共同研究グループを形成



各拠点は、以下の分野の一つを担当（案）

1. 神経・感覚器系
2. 循環器系
3. 血液系
4. 筋・骨格系 等

# 共同研究拠点に求めるもの

## 1. iPS細胞樹立能力

優れた樹立能力、実績

## 2. 分化誘導を行う能力

分担する分野の分化誘導能力、実績

## 3. 共同研究パートナー

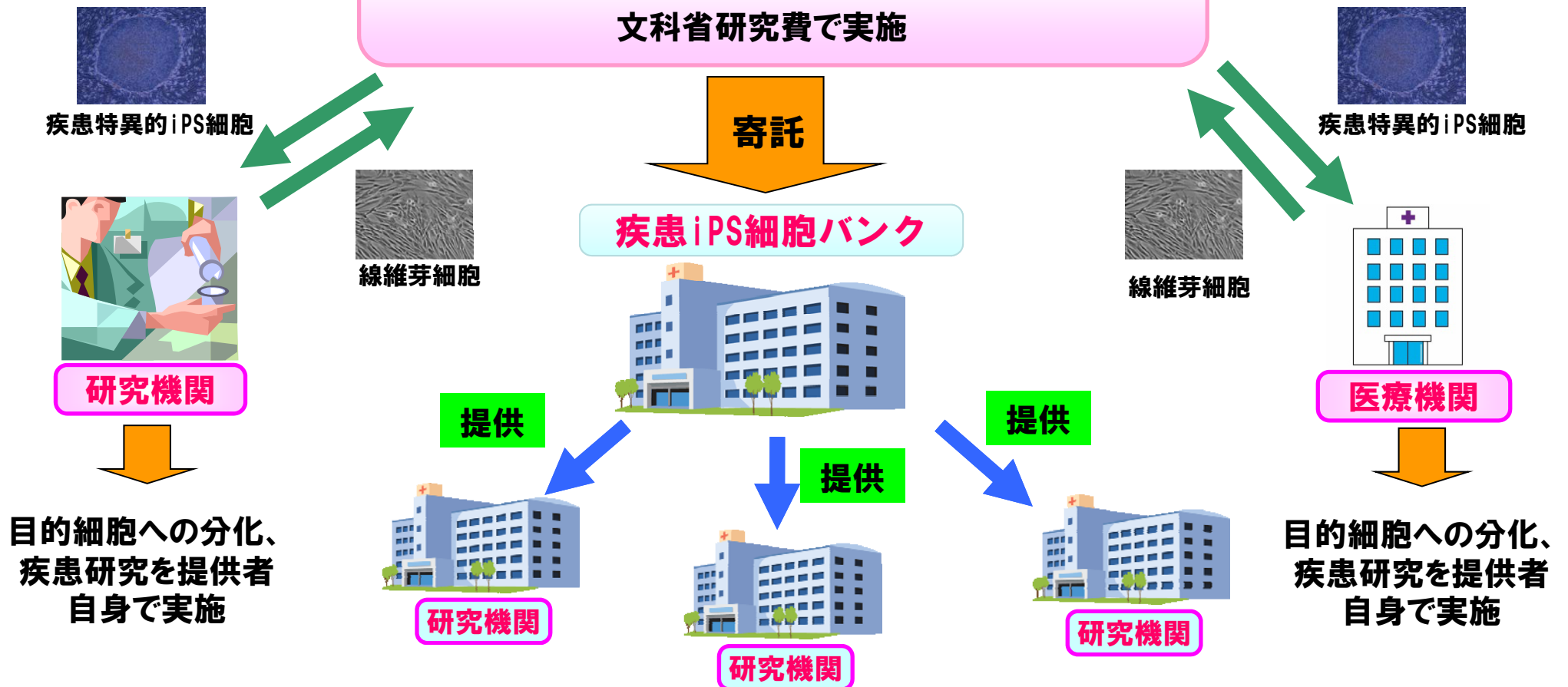
複数の機関との創薬等の成果が見込まれる件数の共同研究計画

# 樹立拠点のイメージ

## 拠点機関

体細胞からのiPS細胞樹立、樹立細胞の品質確認、体細胞提供者へのiPS提供、バンクへの寄託

文科省研究費で実施



品質を確認した疾患特異的iPS細胞を、なるべく多くバンクに寄託

## 疾患特異的iPS細胞を活用した、拠点機関との共同研究の例

- 疾患特異的iPS細胞および分化細胞を用いて疾患の本態に迫る研究
- 疾患研究で得られた細胞の表現型をもとに創薬を目指す研究
- 疾患特異的iPS細胞の特徴を活かしそれにより初めて可能となる研究

採択にあたっては、共同研究の内容を重視



## 事業の目標

- ・ **拠点と創薬・疾患研究機関との疾患特異的iPS細胞を用いた難治性・希少性疾患に対する共同研究の中から、1つ以上の開発候補品が同定されていること。**
- ・ **疾患特異的iPS細胞バンクの充実により、他の研究者に影響を与えうる、疾患特異的iPS細胞を使用した創薬・疾患研究のgood practiceが創出されていること。**

# 応募にあたって

## 1. 難治性疾患研究班（難治性疾患克服研究事業）との、共同研究パートナーの決定

難治性疾患克服研究事業を実施中の研究者のうち、iPS細胞を用いた研究を実施もしくは実施を検討している研究者を調査中。

調査結果は公募要領に掲載予定。

## 2. 製薬企業とのマッチング（後述）

日本製薬工業協会によるコーディネートを予定

## 今後のスケジュール(予定)

<b>6月1日</b>	<b>ワークショップ</b>
<b>7月上旬～下旬</b>	<b>公募</b>
<b>6月下旬～</b>	<b>審査</b>
<b>8月中旬</b>	<b>課題決定</b>
<b>10月</b>	<b>事業開始</b>