

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109125h0003
研究開発課題名 : GJB2 変異難聴患者由来 iPS 細胞によるギャップ結合複合体崩壊を指標とした遺伝性難聴の病態解明と治療研究
研究代表機関名 : 順天堂大学
研究開発代表者名 : 神谷和作

評価委員会のコメント :

○評価できる点、推進すべき点、研究事業にとって必要である理由

コネキシン遺伝子変異による遺伝性難聴にターゲットを絞り、患者 iPS 細胞を得ることで、GJB2 遺伝子治療を計画している野心的な試みであり、これまでの成果も順調に上がっており、高く評価される。

GJB2 変異難聴は頻度が高く、その聴力障害についても多様な程度を示すので、病態解明が急がれる。基礎研究に注力し、iPS 細胞からの内耳前駆細胞の分化誘導などの成果があり、特許の取得、論文発表などの活動が実施された。

iPS 細胞から GJB2 変異難聴の再生医療のための標的細胞、蝸牛支持細胞を作製することに世界で初めて成功したこと。日本人で典型的な GJB2 変異をホモ接合体で有する患者由来の iPS 細胞やその姉弟のヘテロ接合体を有する変異保因者の iPS 細胞、また中等度難聴や高度難聴など症状の異なる典型的変異からの iPS 細胞を樹立したこと。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

iPS 細胞の樹立とその用途についての考察が不十分である。

本課題のメインテーマであるガイドラインに資するエビデンス創出の意味では成果がみられない。

ヒト iPS 細胞からの内耳細胞の製造は不安定な部分が多く、方法の改良が求められること。信頼性の高い評価法も同時に求められる。

以上