

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109193h0002
研究開発課題名 : 福山型筋ジストロフィー及び類縁疾患の中枢細胞移動障害の回復を目指した基盤技術開発研究
研究代表機関名 : 国立大学法人神戸大学
研究開発代表者名 : 池田真理子

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

福山型筋ジストロフィー及び類縁疾患の中枢神経症状の治療法開発は非常に有意義である。また、研究組織体制も、これまでの実績もあり評価される。患者由来の iPS 細胞から中枢神経障害の病態解明に着手していること。今年度中に、その結果を得られると想定されること。
疾患モデルの代わりに疾患 iPS 細胞の樹立と脳三次元立体培養ができています。
本邦に特異的な疾患である FCMD の中枢神経病変にアプローチしている点が革新的である。
疾患特異的 iPS 細胞の樹立にはほぼ成功している。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

FCMD 9 例から iPS を樹立したのみであり、これを用いた中枢神経系病変の治療可能性、治療臨界期などに関する基盤研究の成果は何ら得られておらず、論文・学会報告もなされていない。
現時点では論文はないが、研究結果は今後得られると想定されるので、学会誌への新たな知見の投稿を期待する
基盤技術開発の研究課題で対象とすべき核酸医薬に関する検討はほとんど行われていない。再生医療の研究費で実施すべき内容ではないか。
研究の進捗状況から、核酸医薬開発のための基盤技術確立にはまだ時間が必要そうである。
核酸医薬の効果検討はまだ完了していない。

以上