

**創薬基盤推進研究事業 研究開発課題
事後評価報告書**

事業名（年度）	創薬基盤推進研究事業（令和元年度～令和4年度）
研究開発課題名	大規模疾患レジストリとiPS細胞技術を活用した筋萎縮性側索硬化症に対する新規治療薬開発
代表機関名	学校法人愛知医科大学
研究開発代表者名	祖父江 元

総合評価：大変優れている

【評価コメント】

孤発性筋萎縮性側索硬化症（ALS）患者由来 iPS 細胞／運動神経のフェノタイプを利用し、患者レジストリの活用、iPSC を用いた創薬シーズ探索から創薬ターゲットの抽出に至るまで、計画通りに実施された。本研究で構築した iPS パネル評価系は、ALS 治療薬候補の薬効評価系として実用レベルに仕上がっており、興味深い候補物質も取得した点を評価する。創薬ターゲットに対する今後の展開を期待する。

以上