

再生医療実現拠点ネットワークプログラム
疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム
研究開発課題評価（令和 5 年度実施）
事後評価結果

研究開発課題名	疾患 iPS 細胞を活用した難治性血液・免疫疾患の病態解明と治療法開発
代表機関名	国立大学法人京都大学
研究開発代表者名	齋藤 潤

1. 総合評価

良い

【評価コメント】

難治性血液・免疫疾患を対象として、疾患特異的 iPS 細胞株から血球細胞に分化させて研究を進めた。中間評価後に対象疾患を絞り込み、定量的な目標は達成し、多くの病態解明につながる成果が創出できた点は評価できる。特に、4 疾患で新規治療薬の候補化合物を同定していることやフィーダーフリーの新規血球分化系が開発された点も評価できる。血球系細胞、炎症・免疫系細胞への分化誘導に関して優位性のある技術を有しており、多数の疾患の病態解析に活用して多くの基礎的な知見を得ている点は本課題の強みである。一方、多くの対象疾患に対して、病態解析に関する多くの知見は蓄積したものの、基礎的なレベルや既存の情報を補完するものがやや多く、真に創薬に繋がる有用な成果はやや少なかった。技術移転に関して、培養法・分化誘導法の技術指導が多く、創薬に関連した導出がほとんどなかった点については今後の課題である。