

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	筋疾患に対する治療薬の創出を目指した研究
代表機関名	国立大学法人京都大学
研究開発代表者名	櫻井英俊

1. 総合評価

良い

【評価コメント】

発表論文数、細胞寄託数、技術移転数が目標を大きく上回っている点は評価できる。早期より複数の企業が参画し、創薬を見据えた病態研究を実施した。デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）において易疲労性モデルや筋損傷モデルを構築し、ターゲット同定に至っている。筋疾患の中で、DMD、筋強直性ジストロフィー1型（DM1）、顔面肩甲上腕型ジストロフィー（FSHD）、先天性筋無力症候群（CMS）、先天性ミオパチーの5つに焦点を絞り、疾患の重複を避けて解析を進めた。iPS 細胞株の樹立のみならず分化誘導した iPS 細胞由来骨格筋幹細胞（iMuSC）を用いて解析を進め、各疾患の分子病態の解明、さらには創薬スクリーニング系を樹立した点でも評価される。また、脱細胞化シートを使って大量成熟化培養を開発した点、神経筋接合部形成機序の解析を行った点も評価される。若手研究者育成の成果も評価できる。しかし、技術移転数は多かったものの、その大部分は事業開始時にすでに確立していた基礎的な分化誘導法であった。一部の疾患において病態解明に時間がかかったため、標的となる分子が特定できず、創薬スクリーニング系の構築に至らなかった点は今後の課題である。