

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	ヒト iPS 細胞を用いた呼吸器難病の病態機序の解明と新規創薬基盤の確立
代表機関名	国立大学法人京都大学
研究開発代表者名	平井豊博

1. 総合評価

良い

【評価コメント】

ヒト iPS 細胞から気道・肺胞上皮細胞を分化誘導する優れた技術基盤、肺胞オルガノイドを用いた肺線維症モデル等を開発し、病態解析に活用している。特に、特発性間質性肺炎においてスクリーニングを実施し、動物モデルで有効性を示す候補既知化合物を同定したことは評価できる。環境因子など多様な影響を受けやすい呼吸器疾患の病態解明はチャレンジングであるが、予定通りの成果を出している。肺胞微石症についても 3 年の成果としては十分評価できる。また、中間評価を経て対象疾患を変更したことは妥当であった。肺オルガノイド作製やゲノム編集による疾患モデル開発は、当該疾患のみならず、呼吸器難病の新規治療開発、創薬へ寄与することが期待される。本事業の成果としての特許出願件数が 1 件だけであり、研究拠点 I としては物足りない。特発性間質性肺炎における環境因子は多様であり、今後も遺伝子異常が強い症例に焦点を絞って研究を進めることが期待される。