

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	難治性心筋症疾患特異的 iPS 細胞を用いた集学的創薬スクリーニングシステムの開発と実践
代表機関名	国立大学法人大阪大学
研究開発代表者名	宮川 繁

1. 総合評価

良い

【評価コメント】

患者 iPS 細胞からゲノム編集により修復株及びホモ変異株をセットで作製し、遺伝子変異の量的な違いと病態との関連を詳細に解析できる基盤を構築した点は評価できる。加えて、特発性拡張型心筋症、特発性肥大型心筋症、不整脈原性右室心筋症の3つの循環器疾患に焦点を絞り、iPS 細胞株、分化誘導した心筋細胞などを用いて研究を進めた点は科学的に高く評価できる。さらに、ラマン散乱分光顕微鏡、光第二高調波顕微鏡などの新しいモダリティの導入、人工知能（深層学習）の導入など、新規性が高い。発表論文数、疾患特異的 iPS 細胞の樹立数と寄託数、特許出願数、研究開発の成果の企業・他支援プログラム等への移行件数、拠点内外への支援等の数値目標は達成した。しかし、多くの疾患研究の成果は細胞特性の差異の検出に留まっているように見え、分子メカニズム解明の成果としては TNNT2 変異による拡張型心筋症のみと思われる。今後、創薬に繋がる技術の企業への導出が期待される。