

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	疾患特異的 iPS 細胞を用いた遺伝性腎疾患の病態解明拠点
代表機関名	国立大学法人熊本大学
研究開発代表者名	西中村 隆一

1. 総合評価
優れている

【評価コメント】

論文数、樹立数、寄託数といった定量的な目標は達成されており、知財出願も多い。常染色体優性多発性嚢胞腎（ADPKD）に関する成果として、創薬用のハイスループットスクリーニングに適した集合管嚢胞モデルの大量供給法の開発に成功した点、嚢胞形成を抑制する化合物を同定し、形成された嚢胞サイズを減少させることを見出し、複数の企業への導出も達成した点は高く評価する。腎代替療法の医療経済的な側面を考慮すると、iPS 細胞からの腎オルガノイド作製、薬剤スクリーニング、薬効評価等への応用等、今後の医療経済への貢献も評価したい。先天性ネフローゼ症候群、Alport 症候群については期待する成果が得られていないながらも、先天性ネフローゼ症候群の病態再現は成功しており、着実な進捗を挙げていると評価する。本事業によって ADPKD の治療薬候補として見出された化合物を用いた別事業における第 II 相治験については、2024 年開始に向けて PMDA 相談を実施している。先天性ネフローゼ症候群の原因であるネフリンの膜移行を制御する分子機構の解明と創薬スクリーニングの成果が待たれる。