

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	成育期疾患 iPS 細胞樹立と新規病態モデルの研究開発
代表機関名	国立研究開発法人成育医療研究センター
研究開発代表者名	阿久津 英憲

1. 総合評価

やや良い

【評価コメント】

進行性家族性肝内胆汁うっ滞症 I 型 (PFIC1)、MIRAGE 症候群、先天性副腎皮質過形成症、インプリンティング異常症などを対象疾患として、iPS 細胞株の樹立とオルガノイドの分化誘導系を用いて質の高い多角的解析を行った。特に PFIC1 のミニ腸モデル作製は素晴らしい成果である。他の疾患の成果も、病態解明、創薬研究に今後寄与することが期待される。一方で、MIRAGE 症候群における成果は基礎段階にとどまり、創薬に繋がる成果は認められなかった。また、発表論文数や特許取得数は目標未達であった。研究論文は今後さらに受理されることを期待したい。細胞の寄託の目標が達成できなかった点について、対応可能な範囲でインフォームドコンセントを再取得して、理研バイオリソースセンターへの寄託を進めて欲しい。