

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	先天代謝異常症の新規表現型の解析と薬剤開発の拠点研究
代表機関名	国立大学法人熊本大学
研究開発代表者名	江良 択実

1. 総合評価

良い

【評価コメント】

研究開発項目を着実に達成し、成果も上がっている。疾患特異的 iPS 細胞の樹立数、寄託数ともに十分で、論文数も目標を達成している。先天性代謝異常症の中でもいくつかの疾患に焦点を絞って研究開発を実施した。神経シナプスを形成できる大脳皮質のグルタミン酸作動性ニューロンの分化誘導法を確立し、対象疾患の全てにおける共通の表現型としてシナプスでの機能異常を見出した。各疾患における分子機序の解明においても成果が挙げられている事は評価できる。本研究で確立した iPS 細胞の遺伝子修復技術ならびに修復 iPS 細胞のスクリーニング法については特許を出願している。これらの成果に基づき、他プログラムへの移行を達成している。本研究開発課題の推進中は、先天性代謝異常症を対象にシナプス機能を中心とした病態解析を進めるにあたり、共通指標に重きを置いたため、今後は各疾患に特異的かつ最適な治療標的に繋げる研究開発の発展にも期待する。