

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	無虹彩症に生じる眼異常の発症機構の解明と治療法の開発
代表機関名	国立大学法人大阪大学
研究開発代表者名	西田幸二

1. 総合評価

良い

【評価コメント】

樹立数、寄託数の目標を達成し、*in vitro* で黄斑が再現できる分化誘導法を開発した点は評価できる。無虹彩症が転写因子 PAX6 に関連するネットワークの異常と定義付けたことはオリジナリティが高い。さらに、疾患特異的 iPS 細胞株から二次元眼オルガノイド誘導法（SEAM 法）を用いて無虹彩星の発育に伴って生じるフェノタイプ、角膜混濁、白内障、緑内障、黄斑低形成、眼の大きさなどの病態再現が成功したことも評価される。研究期間内での発表論文はないものの、学会発表も相当数なされていることから、現在準備中の論文が然るべき時期に採択されることを期待する。PAX6 転写因子ネットワークに関連する遺伝子発現について詳細に検討しているが、今後の課題として創薬標的の同定が期待される。