

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	iPS 細胞を用いたサブタイプ別心筋組織構築による心疾患研究
代表機関名	国立大学法人京都大学
研究開発代表者名	吉田善紀

1. 総合評価

良い

【評価コメント】

各研究開発項目の達成度は十分であり、特許出願や発表論文数も良好である。カテコラミン誘発性多形性心室頻拍(CPVT)、不整脈原性右室心筋症 (ARVC)、若年性心房細動、家族性洞不全症候群 (SSS) の 4 つの不整脈疾患に焦点を絞り、特に CPVT および ARVC について、疾患 iPS 細胞から誘導した心筋細胞、非心筋細胞を用いた立体モデルを疾患モデルとして研究を進めた点は評価される。特に健常人株あるいは変異遺伝子修復株を常にコントロールにおいて比較分析した点は科学的にも妥当と思われる。CPVT において変異型カルモジュリンを標的としたアンチセンス核酸が新規治療法として開発目標となったことは大きい。一方で、ARVC では脂肪変性した細胞の催不整脈性に関する検討がなかったため、病態モデルとしての適切さが判然としなかった。ARVC では網羅的解析により発現遺伝子変動を解析して候補のパスウェイを選択したものの、治療標的の同定まで至らなかった点は今後の課題として残された。iPS 細胞の寄託実績が無かったため、今後は着実に寄託する事を期待する。