

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム
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 6 年度実施）
事後評価結果

研究開発課題名	FCMD 及び類縁疾患の iPSCs 由来三次元培養法による疾患モデルを駆使した病態評価と低分子治療法開発
代表機関名	学校法人藤田学園 藤田医科大学
研究開発代表者名	池田 真理子

1. 総合評価

良い

【評価コメント】

研究開発項目 2 に注力して Mn007 の作用機序をほぼ解明する成果をあげた点は評価できる。具体的な化合物を見出した実績は重要であり、引き続き有望な化合物を探して欲しい。疾患 iPS 細胞を用いた福山型筋ジストロフィー（FCMD）の疾患モデルについて、3 次元中枢培養モデルのための大脳・網膜・基底核までは構築している。標的タンパク質である α ジストログリカン糖鎖の糖鎖アッセイ系構築、結合タンパク質の同定、トランスクリプトームの解析などの実験は完了しており、FCMD の病態解明に寄与する成果が得られている。特許出願や論文報告を行っており、理研 BRC への寄託の準備も進めている。一方、FCMD の病態解明に必要な神経筋接合部までにいたるモデル構築、治療臨界期についての検討、バイオマーカーの探索、などは未達だった。全身での FCMD の病態解明が進みつつあるが、将来的な創薬研究への応用に向けて、今後は、動物モデルがない中で非臨床試験をどうするか、臨床試験を経て患者にどのように還元するかといった課題への検討も期待される。