

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	疾患特異的 iPS 細胞を用いた先天性中枢性低換気症候群における低 CO <sub>2</sub> 感受性の分子機構
代表機関名	国立大学法人神戸大学
研究開発代表者名	藤岡 一路

1. 総合評価

やや良い

【評価コメント】

先天性中枢性低換気症候群（CCHS）の病態解明に向けて、呼吸中枢における CO<sub>2</sub> 感受性の再構築に向けた有意義な研究が実施され、今後の CCHS 研究の基盤となりえる成果が得られたと考えられる。CCHS 患者由来 iPS 細胞の樹立、疾患特異的 iPS 細胞を用いてグルタミン酸作動性レトロトラペゾイド核（RTN）神経細胞への分化誘導、Phox2b (LSL-Del8) CCHS モデルマウスの作出を達成できた点は評価できる。一方、RTN 神経細胞における CO<sub>2</sub> 感受性および周期性リズム特性の評価、Phox2b LSL-7Ala マウスの作出に至らず、モデルマウスを用いた病態解析は達成できなかった。今後、iPS 細胞の取り扱いの習熟にともなった確かなデータを積み増し、研究をさらに進めて、着実に論文報告、特許取得を行うことが期待される。