

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム
(幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム)
研究開発課題評価(令和6年度実施)
事後評価結果報告書

研究開発課題名	iPS 細胞由来腎集合管嚢胞モデルを用いた ADPKD に対する新規治療薬の探索
代表機関名	京都大学
研究開発代表者名	前 伸一

【評価コメント】

ヒト iPS 細胞から PKD1 ホモノックアウトの自発的な嚢胞形成を示す集合管嚢胞モデルの開発に成功し、腎嚢胞形成を抑制する化合物 (ATRA) を同定して嚢胞形成の分子機構の一端を明らかにしたことや、企業にライセンスアウトして、ADPKD 患者に対する ATRA の臨床試験を開始したことは評価できる。特許出願、論文掲載ともに行われている。複数の製薬企業と共同研究の可能性について検討を進めている点も評価できる。ATRA が嚢胞形成を抑制する機序解明、PKD1 ヘテロ変異での病態解明、生体内での嚢胞形成を実現する in vivo 嚢胞モデル構築については、今後、本研究で開発された嚢胞と ADPKD によって形成される嚢胞の比較解析や、嚢胞が形成される機序解明をさらに進展させることで、達成されることが期待される。