

# 尿由来幹細胞のダイレクトリプログラミングを活用した神経難病創薬プラットフォームの構築

製薬協参加企業等6社と国立精神・神経医療研究センター、九州大学、東北大学の産学連携による幹細胞コンソーシアムを構築

研究代表者：国立精神・神経医療研究センター（NCNP）神経研究所遺伝子疾患治療研究部 部長 青木吉嗣

## ヒト尿由来細胞疾患モデルの可能性の探索

### 尿由来細胞（UDC）

- ・ 無侵襲に繰り返し採取可能
- ・ 良好な自己増殖能

×

### ダイレクトリプログラミング（DR）

- ・ エピジェネティックな要素は残存
- ・ 分化までの時間とコストが少ない

## 疾患細胞モデル構築

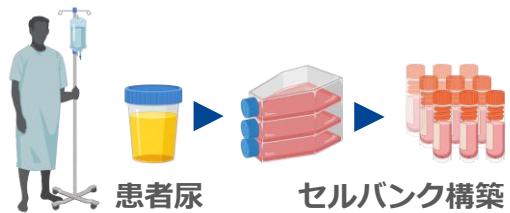
iPS細胞由来疾患モデルを補完する新たなモデル

世界をリードする本邦発の  
創薬プラットフォーム構築

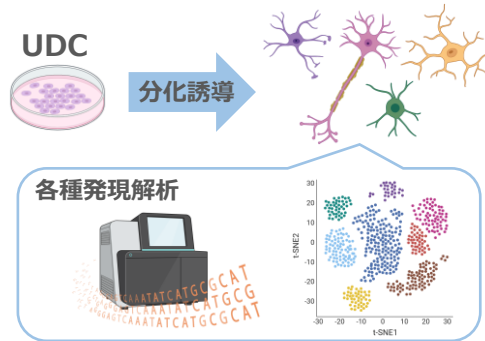
## 対象疾患

TDP-43プロテインパチー病態を共通に持つ、  
筋萎縮性側索硬化症/前頭側頭型認知症

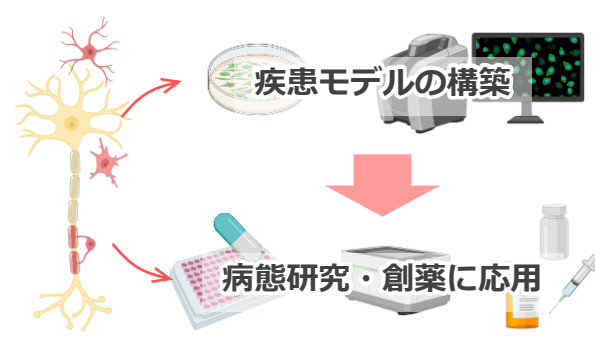
### ① UDCの高品質セルバンクの構築



### ② 神経系細胞への直接分化転換技術開発



### ③ 細胞特性評価・バイオマーカー探索



## コンソーシアムのゴール：

UDCのDR技術で神経・グリア細胞モデルを構築し創薬プラットフォームを社会実装

## 幹細胞コンソーシアム

国立精神・神経  
医療研究センター  
【代表機関】

九州大学  
【分担機関】

東北大学  
【分担機関】

製薬企業1  
【幹事企業】

製薬企業2

製薬企業3

製薬企業4

製薬企業5

製造企業6

## 出口戦略

- ・ 細胞モデルを用いて、有望な薬剤候補の創製に向けた実用化研究を実施
- ・ UDCの製品化と市場供給のための研究開発やプロセス開発を実施

将来像：ALS/FTD以外の神経難病へ対象を広げ、創薬プラットフォームの応用