

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7年度実施)
事後評価結果

研究開発課題名	指定難病を中心とした希少疾患 iPS 細胞バンクの拡充に関する研究
代表機関名	京都大学
研究開発代表者名	齋藤 潤

【評価コメント】

理研 BRC に iPS 細胞が登録されている疾患であっても、寄託数が少ない指定難病を中心とした希少疾患研究を促進するため、国立病院機構との連携を図り、ドナーリクルート体制の構築に取り組み、今後の iPS 細胞利活用促進のための基盤作りに貢献した。樹立した iPS 細胞株は、疾患多様性・症例の樹立数で優れており、拠点としての機能を発揮した。

目標どおり1年間に 50 症例(合計 150 症例)の疾患特異的 iPS 細胞の樹立を達成したが、樹立に際しては未分化マーカー発現、エピソーマル残存性、核型解析、マイコプラズマ陰性確認などを含む性状評価を実施し、質の高い希少疾患 iPS 細胞リソースの拡充に成功した。

一方 EDC 運用の最適化に時間を要し、国立病院機構での研究開始が遅延したため、既に同意取得を得て保存が完了していた症例分のリソースを活用した iPS 細胞の樹立を優先し、新規リクルート数が目標を下回った。状況は理解できたが、事前準備での遅延は想定できなかったか、ある意味で読みの甘さが結果に反映されたものとも思われる。

目標症例の iPS 細胞は樹立済みであるが、研究実施期間内に理研 BRC への寄託完了には至っていない。本研究終了後も、付随情報の登録も含めた寄託作業の確実な完了を徹底いただきたい。