

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	レジストリ連携による神経変性疾患 iPS 細胞コホートの構築と整備
代表機関名	京都大学
研究開発代表者名	井上 治久

【評価コメント】

日本人と関連が深い神経変性疾患の患者コホートや健常者の大規模コホート研究と連携し、疾患多様性を確保した。倫理整備・臨床情報の収集も進んでおり、質の高いバンク構築が見込まれる。企業・アカデミアでの利活用を見据えた倫理計画書の作成も評価できる。

目標とした症例数の研究である 50 症例の細胞株を樹立、ならびに 250 症例の樹立済 iPS 細胞の品質確認・付随情報の収集を順調に進めた。さらに、前頭側頭葉変性症の病態解明を進めて、治療薬候補となるターゲット分子も同定した。

本研究により神経変異が加齢に伴い進行する疾患に目を向けた予防、治療の両面から治療開発をすすめるための基盤を構築できたと考えられ、継続した神経変性疾患 iPS 細胞コホートの整備が望まれる。

知的財産の確保、若手研究者のキャリアパス支援、研究成果の発表に関しても、積極的に取り組まれ、本研究の科学的価値を高めた。研究開発期間中に論文化に至らなかった成果については、引き続き論文化を進め、公表を目指していただきたい。

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。