

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	分子機能による層別化を目的とした心筋症疾患 iPS 細胞ライブラリーの構築
代表機関名	大阪大学
研究開発代表者名	坂田 泰史

【評価コメント】

当初の目標を超える症例数をリクルートし、樹立した iPS 細胞株について、研究実施期間内に理研 BRC への寄託を完了した。

また疾患 iPS 株と臨床情報の整備を進め、アイソジェニック株も含めた解析体制を確立し本研究の利活用の可能性を高めた。

本研究は、ゲノム情報、および臨床情報に基づいた分類すべき心筋症、という観点から行われたが、分化心筋を用いた機能解析(疾患研究)についての成果も得られ、疾患 iPS 細胞を用いたより精緻な心筋研究に貢献されている。

追加支援で実施した全ゲノム解析データ解析をもとに、エクソームデータのみからでは同定困難であった病原性バリエントを同定し、iPS 細胞樹立につなげた。なお全ゲノム解析データの NBDC への寄託は未了であり、鋭意作業を完了いただきたい。

研究成果の公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。