

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 細胞を用いた病態解明・創薬研究課題
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	疾患特異的 iPS 細胞を用いた中枢神経における SENDA/BPAN の病態解明と治療法開発
代表機関名	京都大学
研究開発代表者名	栗屋 智就

【評価コメント】

本研究は、オートファジー機能障害により脳に鉄が沈着する疾患である SENDA/BPAN の中枢神経病態を解明するために疾患特異的 iPS 細胞を用いて創薬に資する評価系を確立することを目的としたものである。

本事業の最重要な趣旨である、iPS 細胞の疾患研究者への技術移転は行われている。ドーパミン作動性神経の創出、フェリチンレポーターの活用など、予定以外の成果もあり、Scientific Reports（2024）14:6506 に発表したことは評価に値する。

しかしながら、事業期間内に NGN2 遺伝子発現カセットを導入した明確な疾患表現型を取得するには至らなかったことは残念であり、目的としたフェノタイプが得られなかった理由についての深掘りした議論が必要である。

その他にも十分に実行できなかった項目があるが、研究の意義は高いことから、実験条件などを見直し、是非、目的を達成していただきたい。候補化合物が得られていることについては今後に期待できる。