

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	核酸医薬を用いた、心筋症の予後を改善する新規抗不整脈治療法の開発
代表機関名	東京大学
研究開発代表者名	稲住 英明

【評価コメント】

本研究は、心不全の進展や心室性不整脈の増加に寄与していると考えられる X の発現を選択的に抑制するアンチセンス核酸を作成し、その投与が疾患 iPS 細胞由来分化心筋細胞の不整脈やカルシウム動態、遺伝子発現等にあたる影響を複数の遺伝子変異株において明らかにするものである。

当初の計画通り、標的 mRNA に対するアンチセンス核酸を設計し、ヒト iPS 細胞由来分化心筋細胞をはじめ、複数の細胞株でスクリーニング・機能解析を完了した。各種の細胞株において効果が高いアンチセンス核酸を抽出できたことは評価すべきと考える。

複数の iPS 細胞株から心筋症疾患特異的 iPS 細胞を樹立し、不整脈評価系へ供することが出来た。樹立した iPS 細胞株の理研 BRC への寄託も予定どおり完了している。

アンチセンス核酸の不整脈抑制効果も確認され、創薬段階の研究としては一定の成果が得られ、次につながる可能性が示唆された。

本研究の成果が認められ、AMED 難治性疾患事業に採択されたことは、今後の治療法の開発に弾みがついた。研究のさらなる発展が期待できる。

iPS 心筋において、電気生理学的な再現が困難だったことは、残念だが重要な知見である。今後、条件を検討し、この点をクリアしてほしい。

研究期間が短かったため、成果の公表に至らなかったと推察するが、重要な研究なので、是非、論文化を目指して研究を推進していただきたい。