

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	神経線維腫症 1 型患者の NF1 遺伝子変異に基づく病態解明と個別化医療を目的とした疾患特異的 iPS 細胞の樹立
代表機関名	岡山大学
研究開発代表者名	中田 英二

【評価コメント】

本研究は、神経線維腫症 1 型（NF1）患者の末梢血から iPS 細胞を樹立し、シュワン細胞前駆体（SCP）に分化誘導して細胞形態や増殖能、遺伝子を比較し、NF1 の分子病態メカニズムを解明、ならびにモデル動物を用いた叢状神経線維腫発生の病態解析を目的としたものである。

当初の計画通り、疾患 iPS 細胞の樹立を達成し、病態解明の基盤技術を確立した。神経線維腫発症の浸透率が極めて高い NF1 変異 iPS 細胞を樹立し、シュワン細胞に分化させ仮説通りのマウス坐骨神経移植部位での腫瘍形成を観察できたことは高く評価される。

樹立した NF1 患者由来 iPS 細胞を理研 BRC バンクへ寄託したことで、研究コミュニティがアクセス可能なリソースを創出できた。神経堤幹細胞を経てシュワン細胞前駆体への分化誘導系を確立したことで、これまで再現が困難だった叢状神経線維腫の発生機序を *in vitro* と *in vivo* で再現する新規モデルを他の研究者にも提供することができるようになったことは、NF1 悪性化メカニズム解明と個別化医療開発に資する成果である。

共同研究体制を構築し、今後の継続研究を進め、さらに論文発表、および知財の検討も進め、実用化に向けた今後の計画も具体化させた。

将来展開が期待される一方、ゲノム情報に基づく個別化医療への道筋がやや不明瞭である。