

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)
中間評価結果

研究開発課題名	iPS 細胞を用いた疾患研究推進のための共同研究支援事業
代表機関名	京都大学
研究開発代表者名	齋藤 潤

1. 研究概要

ヒト iPS 細胞は希少難治性疾患の病態解明や治療法開発を加速させる強力なツールであるが、その解析には高度な技術が求められ、参入障壁が高い。このため、研究代表者らは令和 2-4 年度に iPS 細胞研究者と疾患研究者をマッチングし、共同研究を支援する事業を実施した。この「マッチング事業」により、32 件の共同研究が成立し、iPS 細胞研究の裾野が拡大した。今後ともこうした取り組みを通じて、希少難病研究の進展と社会実装が期待されている。

本研究提案では、iPS 細胞を用いた疾患研究の裾野拡大のため公募される AMED「疾患特異的 iPS 細胞利活用促進のための共同研究課題」の適切かつ円滑な実施のため、運営及び研究業務に対する支援業務を行うことを目標とする。

研究開発項目として次の 3 つを実施する。

研究開発項目 1：共同研究課題支援事務局の運営。共同研究課題支援事務局を代表機関に設置し、マッチング窓口の運営、「疾患特異的 iPS 細胞利活用促進のための共同研究課題」の周知、iPS 細胞やその分化誘導系の検証、倫理審査対応支援、研究進捗確認と研究支援の実施などを行う。初年度に事務局と窓口を立ち上げた後に支援を行う。

研究開発項目 2：iPS 細胞研究者の情報収集と管理。iPS 細胞研究者とその技術に関する情報をリスト化し、データベースとして疾患研究者へ限定公開する。年 1 回程度更新する。

研究開発項目 3：疾患 iPS 細胞研究に対する企業のニーズ収集。企業等による iPS 細胞を用いた創薬の裾野拡大のため、企業等のニーズを調査・集計し、AMED に報告する。

2. 評価結果

当初の計画通り、共同研究課題支援事務局の運営、および iPS 細胞研究者の情報収集と管理を立ち上げ、事業を順調に進めている。

令和 7 年度の共同研究課題の公募では、前回と比べて倍以上の応募があった。これは本課題の研究活動（iPS 細胞研究者と疾患研究者をマッチングし、共同研究を支援）により、疾患 iPS 細胞研究の裾野が広がったことを反映していると思われる。

また、企業 iPS 細胞利用に関するニーズ調査のアンケートを行い、利活用を促進する上での問題点を抽出し、それらを反映した対応策を提言するなど、サポート体制の構築にも力を注いでいる。

今後の企業への展開を考えると、企業ニーズに合致した iPS 細胞株（再現性、創薬あるいは病態解明につながるか）という観点からのアプローチも必要であると感じた。

本研究は基盤を支える事業で、研究代表者は直接的な論文の成果というものがなかなか得られにくい中で尽力いただいている。ヒアリング時に言及された、ニーズを反映した企業が使用可能な基本仕様の提案等に関する論文発表の可能性や、共同研究課題の取組や成果をアウトリーチしていくという方法について、是非検討していただきたい。

本研究は、研究開発代表者が有する希少難治性疾患の iPS 細胞を用いた病態解析と治療法開発の知見を基に、的確な方向性を示す、若しくは実行することで研究開発が牽引されているが、将来的にはシステムとして持続可能な方向へ持って行く必要があり、事業継続に向けてどのような取組が必要となるかを検討し、AMED と継続的に意見交換を行っていくことを期待したい。