

創薬基盤推進研究事業 研究開発課題
中間評価報告書

研究開発課題名	筋萎縮性側索硬化症の大規模患者レジストリと患者 iPS 細胞を活用した産学共同新規創薬開発研究
代表機関名	学校法人愛知医科大学
研究開発代表者名	祖父江 元
全研究開発期間	令和5年度～令和9年度（予定）

1. 総合評価

- ・優れている

【評価コメント】

研究計画に従って、ALS レジストリと iPS 細胞パネルの構築が進んでおり、薬剤評価系も確立しつつあり、進捗・成果がともに適切であり、評価できる。本研究は社会的関心の高いテーマであり、成果による社会貢献も大きく、着実に成果が得られることを期待する。

ALS 創薬研究の基盤になるよう、評価系の活用などを含め、広く利用可能な仕組みの構築に向けて、さらに検討を進めていただきたい。また、孤発性 ALS のゲノム解析におけるゲノムと表現型、創薬標的となり得る作用点の探索とその薬理作用や毒性等との関連性、さらに、標的阻害による効果発現の機序解明について、引き続き着実に取り組んでいただきたい。

以上