

総括研究報告書

1. 研究開発課題名：高品質な分化細胞・組織を用いた神経系および視覚系難病の
in vitro モデル化と治療法の開発
2. 研究開発代表者：井上治久（京都大学 iPS 細胞研究所）
3. 研究開発の成果：

京都大学が、分担機関である理化学研究所と、高品質な分化細胞・組織を用いた神経系および視覚系難病の in vitro モデル化と治療法の開発の事業のために、疾患特異的 iPS 細胞を用いた神経難病の病態解明と創薬研究の支援を行った。

京都大学は、これまで再生医療などの開発を通して蓄積してきたヒト iPS 細胞の樹立技術、分化技術、純化技術などを応用して、神経系の疾患モデル細胞・組織を形成し、それらを厚労省の難病研究班の臨床系研究者に技術提供することで、未だ病因・病態に不明な点が多い神経系の難病に対する研究の推進と画期的な治療法の開発への貢献を目指してきた。神経系難病の臨床研究者の参加により、双方向的で実質的な研究連携により高い国際競争力のある「質」と「成功例」の創出を目指すものである。さらに、こうしたプラットフォームを国内の創薬系の企業での開発研究にも広げ、難病・希少疾患に対する治療薬の開発を大幅に加速することを目指している。

京都大学では、これまでに開発した脳脊髄組織に関するヒト多能性幹細胞からの分化技術を利用して「神経系難病」の疾患モデル化の促進を厚労省難病研究班や一部はすでに企業と連携して実施してきた。大脳・小脳・脊髄の希少難病等に取り組んでいる。

達成に向け、疾患特異的 iPS 細胞の利用技術の改良・最適化を行い、疾患モデル研究を行う厚労省の難病研究班の臨床研究者のために、細胞樹立と技術支援・技術移転を行う。また、分担機関理化学研究所と強く連携をし、その支援と技術改良・普及ならびに材料提供のための協力を行う。

本年度は、ある神経系難病については、新たな分化誘導技術を導入することにより、拠点ですでに厚労省難病研究班と開発してきた創薬スクリーニングモデルを用いて、製薬企業と創薬スクリーニングを行った。また、同様の方法で、このモデル以外の神経系難病でも同様の創薬スクリーニングモデルを構築し、創薬スクリーニングを行った。別の神経系難病については、これまでの疾患モデル化の結果に基づき、厚労省難病研究班と、創薬スクリーニングを行った。また別の神経系難病については、神経純化技術を in vitro の解析系に最適化し、本技術を用いて創薬スクリーニング基盤の構築を行った。また別の神経系難病についても、疾患モデル化を行った。大脳・小脳の希少難病に関しては、疾患標的細胞の可能性のある大脳神経細胞等への分化誘導および疾患モデル化をすすめた。小脳疾患に関しては、分担機関理化学研究所より技術支援を受け、疾患モデル化をすすめた。

研究開発支援に関しては、厚労省の難病研究班研究者の支援を継続した。また、創薬系の企業との共同研究をさらにすすめるとともに、技術移転・トレーニングについて、京大と理研が連携して進めた。

事業の推進のために、京都大学は、分担機関理化学研究所と密に連携し、本分担事業の推進のために厚労省難病研究班研究者および参加企業等との円滑な共同研究プラットフォームの構築を行った。