

平成 28 年度 委託研究開発成果報告書

I. 基本情報 (公開)

事業名 : (日本語) 再生医療実現拠点ネットワークプログラム
疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究
(英語) Research Center Network for Realization of Regenerative Medicine /
The Program for Intractable Diseases Research utilizing Disease-specific
iPS cells

研究開発課題名 : (日本語) 難治性血液・免疫疾患由来の疾患特異的 iPS 細胞の樹立と新規治療法開発
(英語) Establishment of disease-specific induced pluripotent stem (iPS) cells
derived from refractory blood and immunological disease patients, and
development of new medical treatment

研究開発担当者 (日本語) 国立大学法人京都大学 iPS 細胞研究所 特定拠点教授 中畑 龍俊
所属 役職 氏名 : (英語) Tatsutoshi Nakahata, Professor, Center for iPS Cell Research and
Application

実施期間 : 平成 28 年 4 月 1 日 ~ 平成 29 年 3 月 31 日

II. 成果の概要（総括研究報告）

日本語

代表研究者の中畑龍俊（京都大学 iPS 細胞研究所教授）と分担研究者である大津真（東京大学医科学研究所准教授）の両拠点では、厚生労働省難病班を中心とする 9 つの共同研究機関、および 4 つの製薬企業と連携し、H24-28 年度にわたって計 26 の血液免疫系疾患を対象に iPS 細胞を活用した難病研究を実施した。同意を得た患者由来の iPS 細胞樹立と分化系整備・技術移転を並行して行い、期間内に 25 疾患 52 例の患者から iPS 細胞の樹立に成功、うち 19 疾患で病態解析を実施した。解析の進んだ疾患を中心に 25 疾患 52 症例の iPS 細胞を理研 BRC に寄託した。また、病態解析を実施した疾患のうち 4 疾患についてはスクリーニング系構築に成功した。

既知変異陰性の CINCA 症候群患者から樹立した iPS 細胞クローンを IL-1 β 産生パターンに従ってグループ分けし、エクソーム解析の結果から異常産生型に特異的な新規変異 NLRC4 の同定に成功した。これは、iPS 細胞技術を活用した新たな疾患の発見・診断手法を提示する成果である。

自己炎症性疾患であるブラウ症候群について、患者由来 iPS 細胞を用いた解析を行い、炎症性サイトカイン産生の機序の一端を明らかにした。また、先天性造血不全症であるファンconi貧血について、血球分化異常を再現し、責任細胞分画を同定した。

RALDはK-RAS体細胞変異によってリンパ増殖をきたし、自己免疫症状を呈する血液難病であるが、同時に骨髄球系の異常も示すことから、幹細胞に起因する疾患と考えられている。患者 CD34 陽性細胞から変異陽性と陰性の iPS 細胞クローンを樹立し、変異陽性株で特異的に RAS-MAPK 経路が活性化していることを見出した。参画企業と共同で OCT4 の蛍光強度を指標にしたスクリーニング系を構築し、活性既知の 906 化合物についてスクリーニングを行い、ヒット化合物を得た。

これらを始めとする期間内の成果については順次論文を作成し、個別疾患について 9 報が受理公表済み、さらに 4 報を投稿中である。

English

Our collaborative research group performed studies using disease-specific iPS cells to elucidate the pathologies of refractory blood and immunological diseases and to develop new treatments. In close collaboration with top-level physician-scientists in Japan, we established iPS cells from 52 cases with 25 refractory diseases and conducted studies on individual disease mechanisms using iPS cell-derived blood cells.

CINCA syndrome is an IL-1b-driven autoinflammatory disorder caused mainly by mutations in the gene encoding NLRP3. We first confirmed *in vitro* abnormal IL-1b secretion from disease-iPS cell-derived macrophages in response to LPS treatment, as was determined also in patient-derived primary cells. In accordance with that *in vitro* phenotype-dependent diagnosis system, we first identified and reported somatic NLRC4 mutation as a novel cause of NLRP3 mutation-negative patients.

By using iPS cells from patients with Blau syndrome, we identified an upstream signal that causes disease-associated proinflammatory phenotype. We also recapitulated bone marrow failure of Fanconi anemia, and identified a putative responsible progenitor fraction for the phenotype.

RALD, characterized by oncogenic RAS mutations in peripheral mononuclear cells, is a chronic autoimmune disease condition that shares clinical and laboratory features with JMML/CMML, which indicate its stem cell origin. We screened 906 chemical molecules to ascertain whether any could cancel the RAS activation signature in mutant cells, and obtained several candidate compounds.

Our accomplishments across several diseases have been accepted and we have already published nine papers. After the end of the grant term, we will continue to pursue studies that build on our work to date, in order to extend the possibilities for disease investigation using iPS cell technologies.

III. 成果の外部への発表

(1) 学会誌・雑誌等における論文一覧（国内誌 23 件、国際誌 67 件）

中畑 龍俊

1. Kawasaki Y, Oda H, Ito J, Niwa A, Tanaka T, Hijikata A, Seki R, Nagahashi A, Osawa M, Asaka I, Watanabe A, Nishimata S, Shirai T, Kawashima H, Ohara O, Nakahata T, Nishikomori R, Heike T, Saito MK. : Identification of a High-Frequency Somatic NLRC4 Mutation as a Cause of Autoinflammation by Pluripotent Cell-Based Phenotype Dissection. *Arthritis Rheumatol*. 2017 Feb;69(2):447-459. doi: 10.1002/art.39960.
2. Ohta R., Niwa A., Taniguchi Y., Suzuki NM, Toga J., Yagi E., Saiki N., Nishinaka-Arai Y., Okada C., Watanabe A., Nakahata T., Sekiguchi K., Saito MK. : Laminin-guided highly efficient endothelial commitment from human pluripotent stem cells. *Scientific Reports*. 2016 Nov 2; 6: 35680. doi: 10.1038/srep35680.
3. Mao B., Huang S., Lu X., Sun W., Zhou Y., Pan X., Yu J., Lai M., Chen B., Zhou Q., Mao S., Bian G., Zhou J., Nakahata T., Ma F. : Early development of definitive erythroblasts from human pluripotent stem cells defined by expression of glycophorin A/CD235a, CD34, and CD36. *Stem Cell Reports*. 2016 Nov 8;7(5):869-883. doi: 10.1016/j.stemcr.2016.09.002. Epub 2016 Oct 6.
4. Sugimine Y, Niwa A, Matsubara H, Kobayashi K, Tabata Y, Heike T, Nakahata T, Saito MK. : A portable platform for stepwise hematopoiesis from human pluripotent stem cells within PET-reinforced collagen sponges. *Int J Hematol*. 2016 Dec;104(6):647-660. Epub 2016 Sep 6. Doi:10.1007/s12185-016-2088-x.
5. Ameku T, Taura D, Sone M, Numata T, Nakamura M, Shiota F, Toyoda T, Matsui S, Araoka T, Yasuno T, Mae S, Kobayashi H, Kondo N, Kitaoka F, Amano N, Arai S, Ichisaka T, Matsuura N, Inoue S, Yamamoto T, Takahashi K, Asaka I, Yamada Y, Ubara Y, Muso E, Fukatsu A, Watanabe A, Sato Y, Nakahata T, Mori Y, Koizumi A, Nakao K, Yamanaka S, Osafune K. : Identification of MMP1 as a novel risk factor for intracranial aneurysms in ADPKD using iPSC models. *Sci Rep*. 2016 Jul 15;6:30013. doi: 10.1038/srep30013.
6. Maeda H, Chiyonobu T, Yoshida M, Yamashita S, Zuiki M, Kidowaki S, Isoda K, Yamakawa K, Morimoto M, Nakahata T, Saito MK, Hosoi H. : Establishment of isogenic iPSCs from an individual with SCN1A mutation mosaicism as a model for investigating neurocognitive impairment in Dravet syndrome. *J Hum Genet*. 2016 Jun;61(6):565-9. doi: 10.1038/jhg.2016.5. Epub 2016 Feb 4.
7. Yamashita S, Chiyonobu T, Yoshida M, Maeda H, Zuiki M, Kidowaki S, Isoda K, Morimoto M, Kato M, Saitsu H, Matsumoto N, Nakahata T, Saito MK, Hosoi H. : Mislocalization of syntaxin-1 and impaired neurite growth observed in a human iPSC model for STXBP1-related epileptic encephalopathy. *Epilepsia*. 2016 Apr;57(4):e81-6. doi: 10.1111/epi.13338. Epub 2016 Feb 25
8. Shoji E, Sakurai H, Nishino T, Nakahata T, Heike T, Awaya T, Fujii N, Manabe Y, Matsuo M, Sehara-Fujisawa A. : Early pathogenesis of Duchenne muscular dystrophy modelled in

- patient-derived human induced pluripotent stem cells. *Scientific Reports*. 2015 Aug 20;5:12831. doi: 10.1038/srep12831.
9. Suzuki NM, Niwa A, Yabe M, Hira A, Okada C, Amano N, Watanabe A, Watanabe K, Heike T, Takata M, Nakahata T, Saito MK, Pluripotent cell models of Fanconi anemia identify the early pathological defect in human hemoangiogenic progenitors. *Stem Cells Transl Med*. ;4(4):333–8. 2015 Apr, doi: 10.5966/sctm.2013-0172. Epub 2015 Mar 11.
 10. Yoshida M, Kitaoka S, Egawa N, Yamane M, Ikeda R, Tsukita K, Amano N, Watanabe A, Morimoto M, Takahashi J, Hosoi H, Nakahata T, Inoue H, Saito MK, Modeling the early phenotype at the neuromuscular junction of spinal muscular atrophy using patient-derived iPSCs. *Stem Cell Reports*. 2015 Apr 14;4(4):561–8. doi: 10.1016/j.stemcr.2015.02.010. Epub 2015 Mar 19.
 11. Yokoyama K, Ikeya M, Umeda K, Oda H, Nodomi S, Nasu A, Matsumoto Y, Izawa K, Horigome K, Kusaka T, Tanaka T, Saito MK, Yasumi T, Nishikomori R, Ohara O, Nakayama N, Nakahata T, Heike T, Toguchida J.: Enhanced chondrogenesis of induced pluripotent stem cells from patients with neonatal-onset multisystem inflammatory disease occurs via the caspase 1-independent cAMP/protein kinase A/CREB pathway. *Arthritis and Rheumatism*. 67(1): 302–314, 2015/1/1, DOI: 10.1002/art.38912
 12. Fukuta M, Nakai Y, Kirino K, Nakagawa M, Sekiguchi K, Nagata S, Matsumoto Y, Yamamoto T, Umeda K, Heike T, Okumura N, Koizumi N, Sato T, Nakahata T, Saito M, Otsuka T, Kinoshita S, Ueno M, Ikeya M, Toguchida J.: Derivation of Mesenchymal Stromal Cells from Pluripotent Stem Cells through a Neural Crest Lineage using Small Molecule Compounds with Defined Media. *PLoS One*. 2014 Dec 2;9(12): e112291. doi: 10.1371/journal.pone.0112291.
 13. Ochi K, Takayama N, Hirose S, Nakahata T, Nakauchi H, Eto K. Multicolor staining of globin subtypes reveals impaired globin switching during erythropoiesis in human pluripotent stem cells. *Stem Cells Transl Med*. 3(7):792–800. 2014 Jul, doi: 10.5966/sctm.2013-0216. Epub 2014 May 29.
 14. Morishima T, Watanabe KI, Niwa A, Hirai H, Saida S, Tanaka T, Kato I, Umeda K, Hiramatsu H, Saito MK, Matsubara K, Adachi S, Kobayashi M, Nakahata T, Heike T.: Genetic correction of HAX1 in induced pluripotent stem cells from a patient with severe congenital neutropenia improves defective granulopoiesis. *Haematologica*. 99(1):19–27. 2014 Jan doi: 10.3324/haematol.2013.083873.
 15. Egawa N, Kitaoka S, Tsukita K, Naitoh M, Takahashi K, Yamamoto T, Adachi F, Kondo T, Okita K, Asaka I, Aoi T, Watanabe A, Yamada Y, Morizane A, Takahashi J, Ayaki T, Ito H, Yoshikawa K, Yamawaki S, Suzuki S, Watanabe D, Hioki H, Kaneko T, Makioka K, Okamoto K, Takuma H, Tamaoka A, Hasegawa K, Nonaka T, Hasegawa M, Kawata A, Yoshida M, Nakahata T, Takahashi R, Marchetto MC, Gage FH, Yamanaka S, Inoue H.: Response to comment on "Drug screening for ALS using patient-specific induced pluripotent stem cells". *Sci Transl Med*. 2013 Jun 5; 5(188):1881r2. doi: 10.1126/scitranslmed.3005697.
 16. Kondo T, Asai M, Tsukita K, Kutoku Y, Ohsawa Y, Sunada Y, Imamura K, Egawa N, Yahata N, Okita K, Takahashi K, Asaka I, Aoi T, Watanabe A, Watanabe K, Kadoya C, Nakano R, Watanabe D, Maruyama K, Hori O, Hibino S, Choshi T, Nakahata T, Hioki H, Kaneko T, Naitoh M, Yoshikawa

- K, Yamawaki S, Suzuki S, Hata R, Ueno S, Seki T, Kobayashi K, Toda T, Murakami K, Irie K, Klein WL, Mori H, Asada T, Takahashi R, Iwata N, Yamanaka S, Inoue H.: Modeling Alzheimer's Disease with iPSCs Reveals Stress Phenotypes Associated with Intracellular A β and Differential Drug Responsiveness. *Cell Stem Cell*. 12(4):487-96. 2013 Apr 4; doi: 10.1016/j.stem.2013.01.009.
17. Yanagimachi MD., Niwa A., Tanaka T., Honda-Ozaki F., Nishimoto S., Murata Y., Yasumi T., Ito J., Tomida S., Oshima K., Asaka I., Goto H., Heike T., Nakahata T., Saito MK.: Robust and Highly-Efficient Differentiation of Functional Monocytic Cells from Human Pluripotent Stem Cells under Serum- and Feeder Cell-Free Conditions. *PLoS One* 8(4); e59243, April 2013 doi:10.1371/journal.pone.0059243
 18. Egawa N., Kitaoka S., Tsukita K., Naitoh M., Takahashi K., Yamamoto T., Adachi F., Kondo T., Okita K., Asaka I., Aoi T., Watanabe A., Yamada Y., Morizane A., Takahashi J., Ayaki T., Ito H., Yoshikawa K., Yamawaki S., Suzuki S., Watanabe D., Hioki H., Kaneko T., Makioka K., Okamoto K., Takuma H., Tamaoka A., Hasegawa K., Nonaka T., Hasegawa M., Kawata A., Yoshida M., Nakahata T., Takahashi R., Marchetto M.C., Gage F.H., Yamanaka S., Inoue H.: Drug screening for ALS using patient-specific induced pluripotent stem cells. *Sci Transl Med*. 1;4(145):145ra104, 2012 Aug
 19. Tanaka T, Takahashi K, Yamane M, Tomida S, Nakamura S, Oshima K, Niwa A, Nishikomori R, Kambe N, Hara H, Mitsuyama M, Morone N, Heuser JE, Yamamoto T, Watanabe A, Sato-Otsubo A, Ogawa S, Asaka I, Heike T, Yamanaka S, Nakahata T, Saito MK.: Induced pluripotent stem cells from CINCA syndrome patients as a model for dissecting somatic mosaicism and drug discovery. *Blood*. 120(6):1299-308, Aug 2012. doi: 10.1182/blood-2012-03-417881.
 20. 中畑龍俊: 再生医療の発展に向けて (巻頭言). *Bio Clinica*, Vol.31, No.10 (通巻 413 号): 13 p, 2016 年 9 月
 21. 中畑龍俊: iPS 細胞研究の現状と今後の臨床展開 いよいよ本格化する再生医療と創薬の世界. *血液事業* Vol. 38, No. 2: 359 2015 年 8 月
 22. 中畑龍俊: iPS 細胞を用いた今後の医療. *長野県医学会雑誌* 第 46 巻: 75-76 2016 年 3 月 26 日
 23. 齋藤潤、中畑龍俊: 血液・免疫疾患の iPS 細胞研. *月刊細胞* Vol. 48 No, 2 (通巻 633 号) (特集 疾患特異的 iPS 細胞研を用いた病態解明の最前線): 13 (65) -16(68) 2016 年 2 月 20 日
 24. 中畑龍俊: iPS 細胞を用いた今後の医療. *一般法人みどり青色申告会創立 30 周年記念誌*: 14-21 2015 年 10 月 (創立 30 周年記念特別講演)
 25. 中畑龍俊: II. 臨床応用を目指した基礎研究 疾患モデル細胞、iPS 細胞を用いた毒性評価と創薬研究「iPS 細胞を用いた疾患モデル研究 (総論)」(増刊号 再生医療—新たな医療を求めて—) *日本臨床* 37 巻増刊号 5 (通巻第 1080 号): 374-380 2015 年 6 月 20 日
 26. 齋藤潤、中畑龍俊: iPS 細胞を使った血液疾患研究. *病理と臨床* Vol133, No6: 582-586 2015 年 6 月 1 日
 27. 中畑龍俊: 特集によせて. *遺伝子医学* M00K27: 23-26 (iPS 細胞を用いた難病研究—臨床病態解明と創薬に向けた研究の最新知見、編集: 中畑龍俊) 2015 年 2 月 5 日

28. 中畑龍俊：iPS 細胞から HTS に耐える疾患モデル評価系の構築. (特別インタビュー) 国際医薬品情報 通巻第 1026 号：25-27 2015 年 1 月 26 日
29. 中畑龍俊：発生からみた iPS 細胞研究の意義と未来. 不整脈+PLUS (Life Science Publishing) No. 8:10-11 2014 年 3 月 14 日
30. 中畑龍俊：総論 疾患 iPS 細胞の樹立と臨床病態解析への応用. Medical Science Digest (MSD) Vol. 39 No. 11 (通巻 514 号)：4(504)-6(506) 2013 年 10 月 25 日
31. 中畑龍俊、岡野光夫、高橋政代：再生医療の現状と将来. HUMAN SCIENCE Vol. 24 No. 3:4-13, 2013 年 7 月
32. 中畑龍俊：総論：疾患特異的 iPS 細胞を用いた医療. BIO Clinica (疾患特異的 iPS 細胞) Vol. 28 No. 3: 16(204)-21(209), 通巻 364 号, 2013 年 3 月
33. 齋藤潤、中畑龍俊：疾患特異的 iPS 細胞. 再生医療 Vol. 12 No. 1:19-32, 2013 年 2 月 1 日

齋藤 潤

1. Kawasaki Y, Oda H, Ito J, Niwa A, Tanaka T, Hijikata A, Seki R, Nagahashi A, Osawa M, Asaka I, Watanabe A, Nishimata S, Shirai T, Kawashima H, Ohara O, Nakahata T, Nishikomori R, Heike T, Saito MK*. Identification of a High-Frequency Somatic NLRC4 Mutation as a Cause of Autoinflammation by Pluripotent Cell-Based Phenotype Dissection. *Arthritis Rheumatol.* 2017 Feb;69(2):447-459. doi: 10.1002/art.39960.
2. Ohta R, Niwa A, Taniguchi Y, Suzuki N, Toga J, Yagi E, Saiki N, Nishinaka-Arai Y, Okada C, Watanabe A, Nakahata T, Sekiguchi K, Saito MK*. Laminin-guided highly efficient endothelial commitment from human pluripotent stem cells. *Scientific Reports*, 2016 Nov 2;6:35680. doi: 10.1038/srep35680.
3. Sugimine Y, Niwa A, Matsubara H, Kobayashi K, Tabata Y, Heike T, Nakahata T, Saito MK*. A portable platform for stepwise hematopoiesis from human pluripotent stem cells within PET-reinforced collagen sponges. *Int J Hematol.* 2016 Dec;104(6):647-660. Epub 2016 Sep 6.
4. Yamashita S, Chiyonobu T, Yoshida M, Maeda H, Zuiki M, Kidowaki S, Isoda K, Morimoto M, Kato M, Saito H, Matsumoto N, Nakahata T, Saito MK, Hosoi H. Mislocalization of syntaxin-1 and impaired neurite growth observed in a human iPSC model for STXBP1-related epileptic encephalopathy. *Epilepsia.* 2016 Apr;57(4):e81-6. doi: 10.1111/epi.13338. Epub 2016 Feb 25.
5. Maeda H, Chiyonobu T, Yoshida M, Yamashita S, Zuiki M, Kidowaki S, Isoda K, Yamakawa K, Morimoto M, Nakahata T, Saito MK, Hosoi H. Establishment of isogenic iPSCs from an individual with SCN1A mutation mosaicism as a model for investigating neurocognitive impairment in Dravet syndrome. *J Hum Genet.* 2016 Jun;61(6):565-9. doi: 10.1038/jhg.2016.5. Epub 2016 Feb 4.
6. Kitajima K, Nakajima M, Kanokoda M, Kyba M, Dandapat A, Tolar J, Saito MK, Toyoda M, Umezawa A, Hara T. GSK3 β inhibition activates the CDX/HOX pathway and promotes hemogenic endothelial progenitor differentiation from human pluripotent stem cells. *Exp Hematol.* 2016 Jan;44(1):68-74. e1-10. doi: 10.1016/j.exphem.2015.09.007. Epub 2015 Oct 23.
7. Yoshida M, Kitaoka S, Egawa N, Yamane M, Ikeda R, Tsukita K, Amano N, Watanabe A, Morimoto M, Takahashi J, Hosoi H, Nakahata T, Inoue H, Saito MK*, Modeling the early phenotype at

- the neuromuscular junction of spinal muscular atrophy using patient-derived iPSCs. *Stem Cell Reports*. 2015 Apr 14;4(4):561–8 doi: 10.1016/j.stemcr.2015.02.010
8. Suzuki NM, Niwa A, Yabe M, Hira A, Okada C, Amano N, Watanabe A, Watanabe K, Heike T, Takata M, Nakahata T, Saito MK*, Pluripotent cell models of Fanconi anemia identify the early pathological defect in human hemoangiogenic progenitors. *Stem Cells Transl Med*. 2015 Apr;4(4):333–8. doi: 10.5966/sctm.2013-0172. Epub 2015 Mar 11.
 9. Fukuta M, Nakai Y, Kirino K, Nakagawa M, Sekiguchi K, Nagata S, Matsumoto Y, Yamamoto T, Umeda K, Heike T, Okumura N, Koizumi N, Sato T, Nakahata T, Saito M, Otsuka T, Kinoshita S, Ueno M, Ikeya M, Toguchida J. Derivation of Mesenchymal Stromal Cells from Pluripotent Stem Cells through a Neural Crest Lineage using Small Molecule Compounds with Defined Media. *PLoS One*. 2014 Dec 2;9(12):e112291. doi: 10.1371/journal.pone.0112291. eCollection 2014.
 10. Yokoyama K, Ikeya M, Umeda K, Oda H, Nodomi S, Nasu A, Matsumoto Y, Izawa K, Horigome K, Kusaka T, Tanaka T, Saito MK, Yasumi T, Nishikomori R, Ohara O, Nakayama N, Nakahata T, Heike T, Toguchida J. Enhanced chondrogenesis of iPS cells from neonatal-onset multisystem inflammatory disease occurs via the caspase-1-independent cAMP/PKA/CREB pathway. *Arthritis Rheumatol*. 2015 Jan;67(1):302–14. doi: 10.1002/art.38912.
 11. Nakagawa K, Gonzalez-Roca E, Souto A, Kawai T, Umebayashi H, Campistol JM, Cañellas J, Takei S, Kobayashi N, Callejas-Rubio JL, Ortego-Centeno N, Ruiz-Ortiz E, Rius F, Anton J, Iglesias E, Jimenez-Treviño S, Vargas C, Fernandez-Martin J, Calvo I, Hernández-Rodríguez J, Mendez M, Dordal MT, Basagaña M, Bujan S, Yashiro M, Kubota T, Koike R, Akuta N, Shimoyama K, Iwata N, Saito MK, Ohara O, Kambe N, Yasumi T, Izawa K, Kawai T, Heike T, Yagüe J, Nishikomori R, Aróstegui JJ. Somatic NLRP3 mosaicism in Muckle-Wells syndrome. A genetic mechanism shared by different phenotypes of cryopyrin-associated periodic syndromes. *Ann Rheum Dis*. 2013 Dec 10. [Epub ahead of print]
 12. Morishima T, Watanabe KI, Niwa A, Hirai H, Saida S, Tanaka T, Kato I, Umeda K, Hiramatsu H, Saito MK, Matsubara K, Adachi S, Kobayashi M, Nakahata T, Heike T. Genetic correction of HAX1 in induced pluripotent stem cells from a patient with severe congenital neutropenia improves defective granulopoiesis. *Haematologica*. 2014 Jan;99(1):19–27. doi: 10.3324/haematol.2013.083873. Epub 2013 Aug 23.

吉田 善紀

1. Nakanishi H, Miki K, Komatsu KR, Umeda M, Mochizuki M, Inagaki A, Yoshida Y, Saito H. Monitoring and visualizing microRNA dynamics during live cell differentiation using microRNA-responsive non-viral reporter vectors. *Biomaterials*. 2017 128:121–135.
2. Yamamoto Y, Makiyama T, Harita T, Sasaki K, Wuriyanghai Y, Hayano M, Nishiuchi S, Kohjitani H, Hirose S, Chen J, Yokoi F, Ishikawa T, Ohno S, Chonabayashi K, Motomura H, Yoshida Y (corresponding author), Horie M, Makita, Kimura T. Allele-specific ablation rescues electrophysiological abnormalities in a human iPS cell model of long-QT syndrome with a CALM2 mutation. *Hum Mol Genet* 2017 26(9):1670–1677

3. Ueki J, Nakamori M, Nakamura M, Nishikawa M, Yoshida Y, Tanaka A, Morizane A, Kamon M, Araki T, Takahashi MP, Watanabe A, Inagaki N, Sakurai M. Research for Myotonic dystrophy type 1 patient-derived iPSCs for the investigation of CTG repeat instability. *Sci Rep.* 2017, 7, 42522.
4. Sasaki K, Makiyama T, Yoshida Y (corresponding author), Wuriyanghai Y, Kamakura T, Nishiuchi S, Hayano M, Harita T, Yamamoto Y, Kohjitani H, Hirose S, Chen J, Itoh H, Kawamura M, Ohno S, Takeuchi A, Matsuoka S, Miura M, Sumitomo N, Horie M, Yamanaka S, Kimura T. Research for Patient-specific Human Induced Pluripotent Stem Cell Model Assessed with Electrical Pacing Validates S107 as a Potential Therapeutic Agent for Catecholaminergic Polymorphic Ventricular Tachycardia. *Plos One.* 2016, 11(10), e0164795.
5. Parr CJ, Katayama S, Miki K, Kuang Y, Yoshida Y, Morizane A, Takahashi J, Yamanaka S, Saito H. Research for MicroRNA-302 switch to identify and eliminate undifferentiated human pluripotent stem cells. *Scientific Reports.* 2016, 6, 32532.
6. Nishizawa M, Chonabayashi K, Nomura M, Tanaka A, Nakamura M, Inagaki A, Nishikawa M, Takei I, Oishi A, Tanabe K, Ohnuki M, Yokota H, Koyanagi-Aoi M, Okita K, Watanabe A, Takaori-Kondo A, Yamanaka S, Yoshida Y (corresponding author). Research for Epigenetic Variation between Human Induced Pluripotent Stem Cell Lines Is an Indicator of Differentiation Capacity. *Cell Stem Cell.* 2016, 19(3), 341-354.
7. Ocegüera-Yanez F, Kim SI, Matsumoto T, Tan GW, Xiang L, Hatani T, Kondo T, Ikeya M, Yoshida Y, Inoue H, Woltjen K. Research for Engineering the AAVS1 locus for consistent and scalable transgene expression in human iPSCs and their differentiated derivatives. *Methods.* 2016, 101, 43-55.
8. Kawamura T, Miyagawa S, Fukushima S, Maeda A, Kashiyama N, Kawamura A, Miki K, Okita K, Yoshida Y, Shiina T, Ogasawara K, Miyagawa S, Toda K, Okuyama H, Sawa Y. Cardiomyocytes Derived from MHC-Homozygous Induced Pluripotent Stem Cells Exhibit Reduced Allogeneic Immunogenicity in MHC-Matched Non-human Primates. *Stem Cell Reports.* 2016 ;6(3):312-208;6(3):312-20
9. Morita Y, Andersen P, Hotta A, Tsukahara Y, Sasagawa N, Hayashida N, Koga C, Nishikawa M, Saga Y, Evans SM, Koshiba-Takeuchi K, Nishinakamura R, Yoshida Y, Kwon C, Takeuchi JK. Sall1 transiently marks undifferentiated heart precursors and regulates their fate. *J Mol Cell Cardiol.* 2016 ;92:158-62
10. Yoshida Y (corresponding author), Yamanaka S. Understanding Intracellular Signaling Advances Cardiac Reprogramming Technology Toward Clinical Applications. *Circ Res.* 2016 ;118(3):377-8.
11. Funakoshi S, Miki K, Takaki T, Okubo C, Hatani T, Chonabayashi K, Nishikawa M, Takei I, Oishi A, Narita M, Hoshijima M, Kimura T, Yamanaka S, Yoshida Y (corresponding author). Enhanced engraftment, proliferation, and therapeutic potential in heart using optimized human iPSC-derived cardiomyocytes. *Sci Rep.* 2016 ;6:19111
12. Miki K, Endo K, Takahashi S, Funakoshi S, Takei I, Katayama S, Toyoda T, Kotaka M, Takaki T, Umeda M, Okubo C, Nishikawa M, Oishi A, Narita M, Miyashita I, Asano K, Hayashi K, Osafune

- K, Yamanaka S, Saito H, Yoshida Y (corresponding author). Efficient Detection and Purification of Cell Populations Using Synthetic MicroRNA Switches Cell Stem Cell. 2015 ;16(6):699-711
13. Tokunaga K, Saitoh N, Goldberg I, Sakamoto C, Yasuda Y, Yoshida Y, Yamanaka S, Nakao M, Computational image analysis of colony and nuclear morphology to evaluate human induced pluripotent stem cells Sci Rep. 2014 ;4:6996
 14. Nakagawa M, Taniguchi Y, Senda S, Takizawa N, Ichisaka T, Asano K, Morizane A, Doi D, Takahashi J, Nishizawa M, Yoshida Y, Toyoda T, Osafune K, Sekiguchi K, Yamanaka S. A novel efficient feeder-free culture system for the derivation of human induced pluripotent stem cells. Sci Rep. 2014 ;4:3594
 15. Miki K, Yoshida Y (corresponding author), Yamanaka S, Making Steady Progress on Direct Cardiac Reprogramming Toward Clinical Application Circ Res. 2013 ;113(1):13-5.
 16. Kamakura T, Makiyama T, Sasaki K, Yoshida Y (corresponding author), Wuriyanghai Y, Chen J, Hattori T, Ohno S, Kita T, Horie M, Yamanaka S, Kimura T, Ultrastructural maturation of human-induced pluripotent stem cell-derived cardiomyocytes in a long-term culture. Circ J. 2013 ;77(5):1307-14
 17. Yoshida Y (corresponding author), Yamanaka S, An emerging strategy of gene therapy for cardiac disease. Circ Res. 2012 111(9):1108-10
 18. Yoshida Y (corresponding author), Yamanaka S, Labor pains of new technology: direct cardiac reprogramming , Circ Res 2012 ;111(1):3-4
 19. 吉田善紀 iPS細胞を用いた血管再生研究の展望と課題 血管医学 メディカルレビュー社2016年3月号 (Vol. 17 No.1) 平成28年
 20. 舟越俊介、山中伸弥、吉田善紀 日本で開発された細胞：iPS細胞 循環器専門医第23巻第2号 p.299-304 平成27年
 21. 中村正裕, 野村真樹, 溝曾路祥孝, 吉田善紀, 渡辺亮 幹細胞・発生研究におけるシングルセル遺伝子発現解析 実験医学 33(1): 15-19 平成27年
 22. 吉田善紀 ES細胞とiPS細胞 心臓 46巻12号 2014年 p. 1546-1549 平成26年
 23. 吉田善紀 iPS細胞を用いた治療 臨床心不全のいちばん大事なところ 60 メディカ出版 p344-347 平成27年
 24. 蝶名林和久、吉田善紀、高折晃史 リプログラミング技術を用いた骨髄異形成症候群の病態解明と新規治療の可能性 iPS細胞を用いた難病研究-臨床病態解明と創薬に向けた研究の最新知見。遺伝子医学MOOK27号。メディカルドゥ社。2015:27:147-151 平成27年
 25. 吉田善紀、山中伸弥 iPS細胞 医学のあゆみ, 249(5), 404-405 平成26年
 26. 吉田善紀, 山中伸弥 iPS細胞、ES細胞の診断と治療への応用 循環器疾患の最新医療, 先端医療技術研究所 29-32 平成24年
 27. 吉田善紀 iPS細胞を用いた遺伝性心疾患の分子病態の解明と創薬研究 遺伝子医学 MOOK22 再心疾患モデルと病態解明、創薬応用研究、細胞医薬創製研究の最前線, メディカルドゥ, 133-136, 2012年

1. Hoshino A, Okada S, Yoshida K, Nishida N, Okuno Y, Ueno H, Yamashita M, Okano T, Tsumura M, Nishimura S, Sakata S, Kobayashi M, Nakamura H, Kamizono J, Mitsui-Sekinaka K, Ichimura T, Ohga S, Nakazawa Y, Takagi M, Imai K, Shiraishi Y, Chiba K, Tanaka H, Miyano S, Ogawa S, Kojima S, Nonoyama S, Morio T, Kanegane H, Abnormal hematopoiesis and autoimmunity in humans with germline IKZF1 mutations. *J Allergy Clin Immunol*. 2016 (in press).
2. Cantaert T, Schickel J, Bannock, Ng Y, Massad C, Delmotte F, Yamakawa N, Glauzy S, Chamberlain N, Kinnunen T, Menard L, Lavoie A, Walter J, Notarangelo L, Bruneau J, Al-Herz W, Kilic S, Ochs H, Cunningham-Rundles C, Burg M, Kuijpers T, Kracker S, Kaneko H, Sekinaka Y, Nonoyama S, Durandy A, and Meffre E. Decreased somatic hypermutation induces an impaired peripheral B cell tolerance checkpoint. *J Clin Invest*. 2016, 126: 4289-4302.
3. Elkaim E, Neven B, Bruneau J, Mitsui-Sekinaka K, Stanislas A, Heurtier L, Lucas CL, Matthews H, Deau MC, Sharapova S, Curtis J, Reichenbach J, Glastre C, Parry DA, Arumugakani G, McDermott E, Kilic SS, Yamashita M, Moshous D, Lamrini H, Otremba B, Gennery A, Coulter T, Quinti I, Stephan JL, Lougaris V, Brodzski N, Barlogis V, Asano T, Galicier L, Boutboul D, Nonoyama S, Cant A, Imai K, Picard C, Nejentsev S, Molina TJ, Lenardo M, Savic S, Cavazzana M, Fischer A, Durandy A, Kracker S. Clinical and immunologic phenotype associated with activated phosphoinositide 3-kinase δ syndrome 2: A cohort study. *J Allergy Clin Immunol*. 2016, 138:210-218.
4. Tsujita Y, Mitsui-Sekinaka K, Imai K, Yeh TW, Mitsuiki N, Asano T, Ohnishi H, Kato Z, Sekinaka Y, Zaha K, Kato T, Okano T, Takashima T, Kobayashi K, Kimura M, Kunitsu T, Maruo Y, Kanegane H, Takagi M, Yoshida K, Okuno Y, Muramatsu H, Shiraishi Y, Chiba K, Tanaka H, Miyano S, Kojima S, Ogawa S, Ohara O, Okada S, Kobayashi M, Morio T, Nonoyama S. Phosphatase and tensin homolog (PTEN) mutation can cause activated phosphatidylinositol 3-kinase δ syndrome-like immunodeficiency. *J Allergy Clin Immunol*. 2016, 138:1672-1680. e10.
5. Okuno Y, Hoshino A, Muramatsu H, Kawashima N, Wang X, Yoshida K, Wada T, Gunji M, Toma T, Kato T, Shiraishi Y, Iwata A, Hori T, Kitoh T, Chiba K, Tanaka H, Sanada M, Takahashi Y, Nonoyama S, Ito M, Miyano S, Ogawa S, Kojima S, Kanegane H. Late-Onset Combined Immunodeficiency with a Novel IL2RG Mutation and Probable Revertant Somatic Mosaicism. *J Clin Immunol*. 2015, 35:610-614.
6. Cantaert T, Schickel JN, Bannock JM, Ng YS, Massad C, Oe T, Wu R, Lavoie A, Walter JE, Notarangelo LD, Al-Herz W, Kilic SS, Ochs HD, Nonoyama S, Durandy A, Meffre E. Activation-Induced Cytidine Deaminase Expression in Human B Cell Precursors Is Essential for Central B Cell Tolerance. *Immunity*. 2015, 17:43:884-95.
7. Kreins A.Y, Ciancanelli M.J, Okada S, Kong X, Ramirez-Alejo N, Kilic S.S, Baghdadi J.E, Nonoyama S, Mahdavian S.A, Ailal F, Bousfiha A, Mansouri D, Nieves E, Ma C.S, Rao G, Bernasconi A, Kuehn H.S, Niemela J, Stoddard J, Deveau P, Cobat A, Azbaoui S.E, Sabri A, Lim C.K, Sundin M, Avery D.T, Halwani R, Grant A.V, Boisson B, Bogunovic D, Itan Y, Moncada-Velez M, Martinez-Barricarte R, Migaud M, Deswarte C, Alsina L, Kotlarz D, Klein C, Muller-Fleckenstein I, Fleckenstein B, Cormier-Daire V, Rose-John S, Picard C,

- Hammarstrom L, Puel A, Al-Muhsen S, Abel L, Chaussabel D, Rosenzweig S.D, Minegishi Y, Tangye S.G, Bustamante J, Casanova JL, and Boisson-Dupuis S. Human TYK2 deficiency: Mycobacterial and viral infections without hyper-IgE syndrome. *J Exp Med.* 2015, 212:1641-1662.
8. Ma CS, Wong N, Rao G, Avery DT, Torpy J, Hambridge T, Bustamante J, Okada S, Stoddard JL, Deenick EK, Pelham SJ, Payne K, Boisson-Dupuis S, Puel A, Kobayashi M, Arkwright PD, Kilic SS, El Baghdadi J, Nonoyama S, Minegishi Y, Mahdavian SA, Mansouri D, Bousfiha A, Blincoe AK, French MA, Hsu P, Campbell DE, Stormon MO, Wong M, Adelstein S, Smart JM, Fulcher DA, Cook MC, Phan TG, Stepensky P, Boztug K, Kansu A, İkinçioğullari A, Baumann U, Beier R, Roscioli T, Ziegler JB, Gray P, Picard C, Grimbacher B, Warnatz K, Holland SM, Casanova JL, Uzel G, Tangye SG. Monogenic mutations differentially affect the quantity and quality of T follicular helper cells in patients with human primary immunodeficiencies. *J Allergy Clin Immunol.* 2015, 136:993-1006.
 9. Mitsui-Sekinaka K, Imai K, Sato H, Tomizawa D, Kajiwara M, Nagasawa M, Morio T, Nonoyama S. Clinical features and hematopoietic stem cell transplantations for CD40 ligand deficiency in Japan. *J Allergy Clin Immunol.* 2015, 136:1018-1024.
 10. Kato T, Crestani E, Kamae C, Honma K, Yokosuka T, Ikegawa T, Nishida N, Kanegane H, Wada T, Yachie A, Ohara O, Morio T, Notarangelo L.D, Imai K, Nonoyama S. RAG1 deficiency may present clinically as selective IgA deficiency. *J Clin Immunol.* 2015, 35:280-288.
 11. Oshima K, Imai K, Albert M.H, Bittner T.C, Strauss G, Filipovich A.H, Morio T, Kapoor N, Dalal J, Schultz K.R, Casper J.T, Notarangelo L.D, Ochs H.D, Nonoyama S. Hematopoietic Stem Cell Transplantation for X-Linked Thrombocytopenia with Mutations in the WAS gene. *J Clin Immunol.* 2015, 35:15-21.
 12. Nakatani K, Imai K, Shigeno M, Sato H, Tezuka M, Okawa T, Mitsuiki N, Isoda T, Tomizawa D, Takagi M, Nagasawa M, Kajiwara M, Yamamoto M, Arai A, Miura O, Kamae C, Nakagawa N, Honma K, Nonoyama S, Mizutani S, Morio T. Cord blood transplantation is associated with rapid B cell neogenesis compared with bone marrow transplantation. *Bone Marrow Transplant.* 2014, 49:1155-1161.
 13. Kamae C, Nakagawa N, Sato H, Honma K, Mitsuiki N, Ohara O, Kanegane H, Pasic S, Pan-Hammarström Q, van Zelm MC, Morio T, Imai K, Nonoyama S. Common variable immunodeficiency classification by quantifying T-cell receptor and immunoglobulin κ -deleting recombination excision circles. *J Allergy Clin Immunol.* 2013, 131:1437-1440.
 14. Kawai T, Saito M, Nishikomori R, Yasumi T, Izawa K, Murakami T, Okamoto S, Mori Y, Nakagawa N, Imai K, Nonoyama S, Wada T, Yachie A, Ohmori K, Nakahata T, Heike T. Multiple reversions of an IL2RG mutation restore T cell function in an X-linked severe combined immunodeficiency patient. *J Clin Immunol.* 2012, 32:690-697.
 15. Ishida H, Imai K, Homma K, Tamura S, Imamura T, Itoh M, Nonoyama S. GATA-2 anomaly and clinical phenotype of a sporadic case of lymphedema, dendritic cell, monocyte, B- and NK-cell (DCML) deficiency, and myelodysplasia. *Eur J Pediatr.* 2012, 171:1273-1276.
 16. Honda F, Kano H, Kanegane H, Nonoyama S, Kim ES, Lee SK, Takagi M, Mizutani S, Morio T. The kinase Btk negatively regulates the production of reactive oxygen species and

- stimulation-induced apoptosis in human neutrophils. *Nat Immunol.* 2012, 26;13:369-378.
17. Ma CS, Avery DT, Chan A, Batten M, Bustamante J, Boisson-Dupuis S, Arkwright PD, Minegishi Y, Nonoyama S, French MA, Choo S, Peake J, Wong M, Cook MC, Fulcher DA, Casanova JL, Deenick EK, Tangye SG. Functional STAT3 deficiency compromises the generation of human T follicular helper cells. *Blood.* 2012, 26;119:3997-4008.
 18. Yang X, Kanegane H, Nishida N, Imamura T, Hamamoto K, Miyashita R, Imai K, Nonoyama S, Sanayama K, Yamaide A, Kato F, Nagai K, Ishii E, Zelm M, Latour S, Zhao X, Miyawaki T. Clinical and genetic characteristics of XIAP deficiency in Japan. *J Clin Immunol.* 2012, 32:411-420.

(2) 学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表

中畑 龍俊

1. 中畑龍俊 : iPS 細胞を用いたこれからの小児医療の可能性. 旭川小児科医会講演会 2012 年 5 月 15 日 旭川ロワジールホテル
2. Yanagimachi Masakatsu, Niwa Akira, Tanaka Takayuki, Oshima Koichi, Saito Megumu, Nakahata, Tatsutoshi: DIFFERENTIATION OF MONOCYTYC LINEAGE CELLS FROM HUMAN IPS CELLS BY USING A SERUM AND FEEDER FREE CULTURE METHOD. 10th Annual Meeting of International Society for Stem Cell Research (ISSCR), June13-16, 2012, Pacifico Yokohama, Yokohama, Japan.
3. Niwa Akira, Saito Megumu, Oshima Koich, Yanagimachi Masakatsu, Tanaka Takayuki, Kato Itaru, Nakahata Tatsutoshi: HUMAN ESC/IPSC-DERIVED MESENCHYMAL STROMA CAN SUPPORT HEMATOPOIETIC PROGENITORS. 10th Annual Meeting of International Society for Stem Cell Research (ISSCR), June13-16, 2012, Pacifico Yokohama, Yokohama, Japan.
4. Morishima, Tatsuya, Watanabe, Ken-ichiro, Niwa, Akira, Tanaka, Takayuki, Saida, Satoshi, Kato, Itaru, Umeda, Katsutsugu, Hiramatsu, Hidefumi, Matsubara, Kousaku, Adachi, Souichi, Nakahata, Tatsutoshi, Heike, Toshio: INDUCED PLURIPOTENT STEM CELL MODEL OF SEVERE CONGENITAL NEUTROPENIA WITH HAX1 GENE DEFICIENCY. 10th Annual Meeting of International Society for Stem Cell Research (ISSCR), June13-16, 2012, Pacifico Yokohama, Yokohama, Japan.
5. Yokoyama Koji, Ikeya Makoto, Nasu Akira, Tanaka Takayuki, Saito Megumu, Umeda Katsutsugu, Nishikomori Ryuta, Nakahata Tatsutoshi, Heike Toshio, Toguchida Junya: UNDERSTANDING THE PATHOLOGY OF THE ARTHROPATHY IN CHRONIC INFANTILE NEUROLOGICAL CUTANEOUS AND ARTICULAR SYNDROME BY USING IPS CELLS TECHNOLOGY. 10th Annual Meeting of International Society for Stem Cell Research (ISSCR), June13-16, 2012, Pacifico Yokohama, Yokohama, Japan.
6. Tanaka Takayuki, Saito Megumu K., Takahashi Kazutoshi, Yamanaka Shinya, Nakahata Tatsutoshi: INDUCED PLURIPOTENT STEM CELLS FROM CINCA SYNDROME PATIENTS AS A MODEL FOR DISSECTING SOMATIC MOSAICISM AND DRUG DISCOVERY. 10th Annual Meeting of International Society for Stem Cell Research (ISSCR), June13-16, 2012, Pacifico Yokohama, Yokohama, Japan.
7. 横山宏司、西小森隆太、池谷真、那須輝、田中孝之、齋藤潤、梅田雄嗣、中畑龍俊、戸口田淳也、平家俊男: 罹患者由来 iPS 細胞を用いた CINCA 症候群における関節病態の分子機構の解明. 第 34 回日本炎症・再生医学会 2013 年 7 月 2-3 日 (ポスター) 国立京都国際会館

8. 川村晃久、十河孝浩、上辻麻子、加藤格、長谷川浩二、戎家美紀、西田栄介、中畑龍俊：表面マーカーによる初期化成功予測因子の解析. 第33回日本炎症・再生医学会 2012年7月5-6日(5日) ホテル日航福岡(ポスター)
9. 川村晃久、十河孝浩、尾野亘、加藤格、長谷川浩二、中畑龍俊：初期化誘導過程で出現する心筋前駆様細胞を用いた安全かつ効率的な心筋再生療法の確立. 第33回日本炎症・再生医学会 2012年7月5-6日(5日) ホテル日航福岡(ポスター)
10. 井澤和司、西小森隆太、吉岡耕平、斉藤潤、中畑龍俊、平家俊男：CINCA 症候群における NLRP3 体細胞モザイク変異. 第33回日本炎症・再生医学会 2012年7月5-6日(5日) ホテル日航福岡(ポスター)
11. 中畑龍俊：iPS細胞を用いた今後の医療の可能性. 日本製薬医学会第4回年次大会 2013年7月19日 エーザイ株式会社本社5階ホール
12. 中畑龍俊：小児患者における iPS 細胞の応用. 第49回日本小児アレルギー学会 2012年9月15-16日(16日) 大阪国際会議場
13. 中畑龍俊：iPS細胞を活用した医療の可能性と倫理. 第10回STSフォーラム「科学技術が拓く人間の未来」公開シンポジウム 2013年10月5日 京都商工会議所ビル講堂
14. 中畑龍俊：iPS細胞研究の進展. 第59回日本臨床検査医学会学術集会 2012年11月29日~12月2日(11/30) 国立京都国際会館
15. Naoya Suzuki, Asuka Hira, Akira Niwa, Megumu Saito, Keitaro Matsuo, Tatsutoshi Nakahata, Minoru Takata, Miharu Yabe: Mesodermal Development From Reprogrammed Fanconi Anemia Cells Is Affected by ALDH2 Enzymatic Activity, 54th ASH Annual Meeting and Exposition, December 8-11, 2012, Atlanta
16. 中畑龍俊：iPS細胞研究の進展. 日本薬学会第133年会 2013年3月29日 パシフィコ横浜
17. 中畑龍俊：iPS細胞を用いた今後の医療の可能性. 平成25年度神奈川県内科医学会総会 2013年5月25日 神奈川県総合医療会館
18. 中畑龍俊：iPS細胞を用いた今後の小児科医療. 第84回日本小児科学会高知地方会 2013年9月22日 高知医療センターくろしおホール
19. 中畑龍俊：iPS細胞の小児医療への臨床応用. 第88回日本小児科学会愛媛地方会・松山小児サテライトシンポジウム 2013年11月17日 いよてつ会館5Fクリスタルホール
20. 中畑龍俊：iPS細胞の小児医療への応用. 第38回東日本小児科学会 2013年11月23日 大宮ソニックシティ
21. 中畑龍俊：iPS細胞の臨床応用. 第55回日本小児血液・がん学会学術集会. 2013年11月29日-12月1日(30日) ヒルトン福岡シーホーク
22. 中畑龍俊：科学委員会の動向の概説(iPS細胞等における造腫瘍性の考え方). 第13回日本再生医療学会総会 2014年3月4-6日(6日) 国立京都国際会館
23. 近藤孝之、舟山美里、月田香代子、中畑龍俊、山中伸弥、井上治久：アルツハイマー病患者由来iPS細胞を用いた細胞内A β 関連ストレスと薬剤応答性の解明.(口演) 第13回日本再生医療学会総会 2014年3月4-6日(4日) 国立京都国際会館
24. 今村恵子、月田香代子、古谷博和、江良沢実、中畑龍俊、山中伸弥、井上治久：家族性筋萎縮性側索硬化症患者由来iPS細胞を用いた疾患モデルの作製. 第13回日本再生医療学会総会 2014年3月4-6日(4日) 国立京都国際会館(ポスター)

25. 杉峰啓憲、丹羽明、齋藤潤、田畑泰彦、中畑龍俊：ポリエチレンテレフタレート繊維で補強したコラーゲンスポンジを用いた ES/iPS 細胞の血球分化系の開発。 第 13 回日本再生医療学会総会 2014 年 3 月 4-6 日 (4 日) 国立京都国際会館 (ポスター)
26. 中畑龍俊：iPS 細胞創薬の現状と将来展望。 第 87 回日本薬理学会年会「日本薬理学会－日本毒性学会合同シンポジウム」 2014 年 3 月 20 日 東北大学百周年記念会館川内萩ホール
27. 横山宏司、西小森隆太、納富誠司郎、田中孝之、齋藤潤、梅田雄嗣、池谷真、中畑龍俊、戸口田淳也、平家俊男：患者由来 iPS 細胞を用いた CINCA 症候群における関節症病態の解明。 第 117 回日本小児科学会学術集会 2014 年 4 月 11-13 日 (11 日) 名古屋国際会議場 口演
28. Niwa Akira, Nakahata Tatsutosi, Saito Megumu: Efficient and less labor-intensive methods for inducing vascular endothelial cells from human pluripotent stem cells. ISSCR 12th Annual Meeting, Vancouver Convention Center (CANADA) June 18-21, 2014(6/18, poster)
29. Iki Takehiro, Tanaka Michihiro, Saito Megumu, Fijibuchi Wataru, Nakahata Tatsutoshi: Microarray analyses cochlea-derived otospheres reveal putative transcription factors which regulate characters of the otospheres. ISSCR 12th Annual Meeting, Vancouver Convention Center (CANADA) June 18-21, 2014(6/20, poster)
30. Shoji Emi, Sakurai Hidetoshi, Heike Toshio, Awaya Tomonari, Nakahata Tatsutoshi, Sehara-Fujisawa Atsuko: Modelling duchenne muscular dystrophy (DMD) with patient derived human induced pluripotent stem cells. ISSCR 12th Annual Meeting, Vancouver Convention Center (CANADA) June 18-21, 2014(6/20, poster)
31. Suzuki Naoya, Samata Bumpei, Habu Toshiyuki, Watanabe Akira, Nakahata Tatsutoshi, Takahashi Jun, Saito Megumu: Impaired neuronal maturation on seckel syndrome is caused by loss of self-organization and centrosome integrity during early neuronal development. ISSCR 12th Annual Meeting, Vancouver Convention Center (CANADA) June 18-21, 2014(6/20, poster)
32. Ohta R, Niwa A, Nakahata T, Saito MK.: Efficient And Less Labor-Intensive Methods for Inducing Vascular Endothelial Cells from Human Pluripotent Stem Cells, ISSCR 12th Annual Meeting, Vancouver Convention Center (CANADA) June 18-21, 2014 (poster)
33. Saiki N., Oshima K., Hirayama A., Soga T., Tomita M., Nakahata T., Saito MK.: Pluripotent stem cell models of reticular dysgenesis as a tool for elucidating the potential role of intracellular bioenergetics systems on controlling the fate of hematopoietic progenitors, ISSCR 12th Annual Meeting, Vancouver Convention Center (CANADA) June 18-21, 2014 (poster)
34. Norihiro Nishimoto, Miho Murakami, Mari Ito, Yukari Saito,, Megumu Saito, Akira Niwa, Tatsutoshi Nakahata: Induced Pluripotent Stem Cells Derived from Rheumatoid Arthritis (RA) Patients Reproduce CD14 (+) CD15 (+) Abnormal Myeloid Cells Observed in Bone Marrow of Severe RA Patients. The American College of Rheumatology (ACR) and the Association of Rheumatology Health Professionals (ARHP) annual meeting 2014 November 14 - 19, 2014, Boston Convention and Exhibition Center (USA), 口演
35. Nishinaka Yoko, Akira Niwa, Mitsujiro Osawa,, Akira Watanabe, Tatsutoshi Nakahata, , Megumu K Saito: Exploring the Pathogenesis of Down Syndrome-Related Myeloproliferative Disorders Using iPSCs. 56th Annual Meeting of the AMERICAN SOCIETY of HEMATOLOGY, December 6-9, 2014, Mascone Convention Center (San Francisco) (poster).

36. Akira Niwa, Akitsu Hotta, Megumu K Saito, Tatsutoshi Nakahata: Phenomic Screen in Vivo and in Vitro to Explore Novel Pathogenesis of AML1-ETO-Positive Leukemia Using PSC-Derived Hematopoietic Cells. 56th Annual Meeting of the AMERICAN SOCIETY of HEMATOLOGY, December 6-9, 2014, Mascone Convention Center (San Francisco) (poster).
37. 横山宏司、西小森隆太、納富誠司郎、田中孝之、齋藤潤、梅田雄嗣、池谷真、小原収、中畑龍俊、戸口田淳也、平家俊男：患者由来 iPS 細胞を用いた CINCA 症候群における関節症病態の解析. 第 35 回日本炎症・再生医学会 2014 年 7 月 1-4 日 (2 日) 万国津梁館 (沖縄) ポスター発表
38. 桐野浩輔、尾崎富美子、丹羽明、中畑龍俊、齋藤潤、平家勇司：末梢血 Natural Killer 細胞を用いた人口多能性幹細胞の樹立. 第 35 回日本炎症・再生医学会 2014 年 7 月 1-4 日 (2 日) 万国津梁館 (沖縄) ポスター発表
39. 王茂治、丹羽明、齋藤潤、中畑龍俊：疾患特異的 iPS 細胞を用いた Chediak-東症候群の病態解析. 第 35 回日本炎症・再生医学会 2014 年 7 月 1-4 日 (2 日) 万国津梁館 (沖縄) ポスター発表
40. 伊藤眞理、村上美帆、丹羽明、齋藤潤、中畑龍俊、西本憲弘：疾患 iPS 細胞を用いた破骨細胞分化系の構築と分化能の検討. 第 1 回日本骨免疫会議 2014 年 7 月 1-4 日 (1 日) 万国津梁館 (沖縄) ポスター発表
41. 中畑龍俊：iPS 細胞－臨床への挑戦. 第 3 回不整脈薬物治療サミット～不整脈薬物治療の近未来を考える～ (第 29 回日本不整脈学会学術大会／第 31 回日本心電学会学術集会合同学術大会サテライトシンポジウム) 2014 年 7 月 25 日 ザ・プリンスパークタワー東京
42. 中畑龍俊：iPS 細胞を用いた小児医療の将来. 第 50 回中部日本小児科学会 2014 年 8 月 10 日 信州大学医学部付属病院
43. 中畑龍俊：アカデミアの立場から (テーマ：日本から発信するレギュラトリーサイエンス). 第 4 回レギュラトリーサイエンス学会学術大会－レギュラトリーサイエンスの世界展開 2014 年 9 月 5-6 日 (6 日) 一橋大学一橋講堂
44. 中畑龍俊：iPS 細胞時代：医療はどうか変わるか. 日本早期認知症学会 (JSED) 第 15 回学術大会 in 佐倉 2014 年 9 月 12-14 日 (14 日) ウィンストンホテル・ユーカーリ
45. 中畑龍俊：iPS 細胞が切り開くこれからの医療. 第 59 回東信医学会 (日本医師会生涯教育講座) 2014 年 10 月 18 日 上田東急イン
46. 中畑龍俊：臍帯血中の造血幹細胞発見秘話と最近の iPS 細胞研究. 第 38 回日本血液事業学会総会 2014 年 10 月 29-31 日 (29 日) 広島国際会議場
47. Shigeharu Oh, Akira Niwa, Megumu K. Saito, Tatsutoshi Nakahata: Modeling Chediak-Higashi Syndrome using patient's specific iPS cells. (一般口演) 第 76 回日本血液学会学術集会 2014 年 10 月 31 日－11 月 2 日 (31 日) 大阪国際会議場
48. Kazuki Taoka, Syunya Arai, Masataka Hosai, Fimihiko Nakamura, Masashi Miyauchi, Sho Yamazaki, Akira Honda, Keisuke Kataoka, Keiki Kumano, Akihide Yoshimi, Koji Eto, Hiromitsu Nakauchi, Tatsutoshi Nakahata, Mineo Kurokawa: Modeling chronic myelomonocytic leukemia through patient-derived induced pluripotent stem cells. (一般口演) 第 76 回日本血液学会学術集会 2014 年 10 月 31 日－11 月 2 日 (31 日) 大阪国際会議場
49. 中畑龍俊：PMDA とヒト幹指針. 第 14 回日本再生医療学会総会 2015 年 3 月 19-21 日 (21 日) パシフィコ横浜 (パネルディスカッション)

50. 戸口田淳也、横山宏司、玉置さくら、小山優子、池谷真、田中孝之、齋藤潤、梅田雄嗣、中畑龍俊、平家俊男、西小森隆太：疾患特異的 iPS 細胞を用いた CINCA 症候群における成長軟骨病態の解析. 第 14 回日本再生医療学会総会 2015 年 3 月 19-21 日 (19 日) パシフィコ横浜 (口演)
51. 人見浩史、笠原朋子、保科あずさ、前伸一、豊原敬文、小高真希、丹羽明、Asadur Rahman、齋藤潤、中畑龍俊、西山成、長船健二：ヒト iPS 細胞由来エリスロポエチン産生細胞を用いた腎性貧血に対する細胞療法の開発. 第 14 回日本再生医療学会総会 2015 年 3 月 19-21 日 (21 日) パシフィコ横浜 (口演)
52. 桐野浩輔、尾崎富美子、丹羽明、中畑龍俊、平家勇司、齋藤潤：末梢血 Natural Killer 細胞を用いた人工多能性幹細胞の樹立. 第 14 回日本再生医療学会総会 2015 年 3 月 19-21 日 (19 日) パシフィコ横浜 (ポスター)
53. 丹羽明、伊藤潤、西中瑤子、鈴木直也、齋藤潤、中畑龍俊：ヒト多能性幹細胞を用いた、完全無血清条件下での成体型ヘモグロビン産生赤芽球への効率的分化誘導法の開発. 第 14 回日本再生医療学会総会 2015 年 3 月 19-21 日 (19 日) パシフィコ横浜 (ポスター)
54. Shigehru Oh, Akira Niwa, Megumu K. Saito, Tatsutoshi Nakahata: Modeling Chediak-Higashi syndrome using patient's specific iPS cells. The 11th Asian society for pediatric research (ASPR2015), April 15 - 18, 2015 Osaka International Convention Center
55. 太田諒、丹羽明、中畑龍俊、齋藤潤: Efficient methods for inducing vascular endothelial cells from pluripotent stem cells. 第 14 回日本再生医療学会総会 2015 年 3 月 19-21 日 (19 日) パシフィコ横浜 (ポスター)
56. Ito M.N., Murakami M., Saito M., Niwa A., Osawa M., Nakahata T., Nishimoto N.: Monocytes differentiated from iPS cells derived from rheumatoid arthritis patients express more M-CSF receptor together with RANK than those from healthy donors resulting in the accelerated osteoclastogenesis. EULAR 2015 Annual Meeting. 2015/6/10-13, Rome, Italy
57. Niwa Akira, Saito Megumu, Nakahata Tatsutoshi: PSC-Derived hematopoietic cells as a new tool for exploring leukemia pathogenesis. (poster) ISSCR 2015 Annual Meeting 2015/6/24-27(24) Stockholmsmässan Exhibition and Convention Center (Stockholm, Sweden)
58. Shoji Emi, Sakurai Hidetoshi, Nishino Tokiko, Nakahata Tatsutoshi, Heike Toshio, Awaya Tomonari, Fujii Nobuharu, Manabe Yasuko, Matsuo Masafumi, Sehara-Fujisawa Aatsuko: The early pathogenesis of duchenne muscular dystrophy exhibited with patient-derived human induced pluripotent stem cells. (poster) ISSCR 2015 Annual Meeting 2015/6/24-27(24) Stockholmsmässan Exhibition and Convention Center (Stockholm, Sweden)
59. Saiki Norikazu, Ozaki Hitomi, Hirayama Akiyoshi, Soga Tomoyoshi, Tomita Masaru, Nakahata Tatsutoshi, Saito Megumu K.: The contribution of metabolites of the TCA cycle to maintenance of pluripotent stem cells. (poster) ISSCR 2015 Annual Meeting 2015/6/24-27(25) Stockholmsmässan Exhibition and Convention Center (Stockholm, Sweden)
60. Nishinaka Yoko, Niwa Akira, Osawa Mitsujiro, Nakahata Tatsutoshi, Saito Megumu K.: Exploring the pathogenesis of transient my-exploiferative disorder using iPSCs. (poster) ISSCR 2015 Annual Meeting 2015/6/24-27(26) Stockholmsmässan Exhibition and Convention Center (Stockholm, Sweden)

61. Ohta Ryo, Niwa Akira, Nakahata Tatsutoshi, Saito Megumu; Sequential switching of matrices directs human pluripotent stem cells into endothelial lineage. (poster) ISSCR 2015 Annual Meeting 2015/6/24-27(26) Stockholmsmässan Exhibition and Convention Center (Stockholm, Sweden)
62. 中畑龍俊: 疾患特異的 iPS 細胞の創薬研究への応用. 医療薬学フォーラム 2015/第 23 回クリニカルファーマシーシンポジウム (シンポジウム 3 「ヒト iPS 細胞由来分化細胞を用いた創薬研究の課題と現状」) 2015 年 7 月 4 日 名古屋国際会議場
63. 伊藤眞理、村上美帆、丹羽明、大澤光次郎、齋藤潤、中畑龍俊、西本憲弘: 関節リウマチ患者由来 iPS 細胞から分化した単球は、破骨細胞分化能が高い. 第 36 回日本炎症・再生医学会 2015 年 7 月 21-22 日 虎ノ門ヒルズフォーラム (ポスター)
64. 中畑龍俊: iPS 細胞を用いた今後の医療. 第 66 回長野県医学会 2015 年 7 月 26 日 上田東急 REI ホテル 3 階「信濃の間」
65. 中畑龍俊: iPS 細胞研究の現状と今後の臨床展開—いよいよ本格化する再生医療の創薬の世界— 第 39 回日本血液事業学会総会 2015 年 10 月 4-6 日 (4 日) グランキューブ大阪
66. Satoshi Saito, Shiho Nishimura, Miyuki Tsumura, Yoko Mizoguchi, Sonoko Sakata, Aya Furue, Mizuka Miki, Hiroshi Kawaguchi, Takafumi Hiramoto, Yasuhiro Ebihara, Kohichiro Tsuji, Tatsutoshi Nakahata, Masao Kobayashi: A comparison of myelopoiesis from induced pluripotent stem cells with a mutation in ELANE between cyclic neutropenia and severe congenital neutropenia. 57th Annual Meeting of the AMERICAN SOCIETY of HEMATOLOGY, December 5-8, 2015, Orange Country Convention Center (San Francisco) (Poster, December 6, 2015)
67. Yoko Nishinaka-Arai, Akira Niwa, Mitsujiro Osawa, Tatsutoshi Nakahata, Megumu K Saito: Recapitulation of transient abnormal myelopoiesis using patient derived iPSCs. 57th Annual Meeting of the AMERICAN SOCIETY of HEMATOLOGY, December 5-8, 2015, Orange Country Convention Center (San Francisco) (Poster, December 7, 2015)

齋藤 潤

1. 疾患 iPS 細胞を用いた血液疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 第 17 回九州小児血液セミナー, 2013/04/06, 国内
2. iPS 細胞を用いた自己炎症性疾患の解析について, 口頭, 齋藤潤, 第 57 回日本リウマチ学会総会・学術集会, 2013/04/18, 国内
3. 疾患 iPS 細胞を用いた 自己炎症性疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 10th Bloodmaster, 2013/06/29, 国内
4. 疾患 iPS 細胞を用いた小児疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 京津小児診療最前線セミナー2013, 2013/11/06, 国内
5. 疾患 iPS 細胞を用いた血液・免疫疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 疾患特異的 iPS 細胞を利用した病態解明・創薬開発セミナー, 2013/11/25, 国内
6. 疾患 iPS 細胞を用いた病態解析と創薬の試み, 口頭, 齋藤潤, 第 4 回スクリーニング学研究会, 2013/11/29, 国内
7. Disease-specific iPSC cells derived from patients with hematological and immunological disorders, 口頭, Megumu K. Saito, CiRA symposium, 2014/01/18, 国内

8. 疾患 iPS 細胞を用いた血液免疫疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 第 13 回日本再生医療学会総会, 2014/03/05, 国内
9. iPS 細胞研究の現状について, 口頭, 齋藤潤, 日本 QA 研究会, 2014/03/19, 国内
10. 疾患特異的 iPS 細胞を用いた 免疫疾患の解析について, 口頭, 齋藤潤, 大阪リウマチカンファレンス, 2014/04/19, 国内
11. 疾患 i P S 細胞を用いた血液・免疫疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 第 5 回小児炎症研究会, 2014/06/21, 国内
12. 疾患特異的 iPS 細胞を用いた 免疫疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 第 6 回炎症性腸疾患と免疫を語る会, 2014/06/26, 国内
13. 疾患特異的 iPS 細胞を用いた 免疫疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 横浜小児先端セミナー, 2014/09/12, 国内
14. 再生医療用 iPS 細胞ストックの ドナーリクルートについて, 口頭, 齋藤潤, 日本臓器保存生物医学会, 2014/11/28, 国内
15. 疾患 i P S 細胞を用いた血液疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 京大病院 iPS 細胞・再生医療研究会, 2015/01/30, 国内
16. iPS 細胞研究の現状について, 口頭, 齋藤潤, 徳洲会グループ平成 27 年 1 月度医療経営戦略セミナー, 2015/01/31, 国内
17. 疾患特異的 iPS 細胞を用いた 血液疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 第 14 回日本再生医療学会総会, 2015/03/19, 国内
18. Modeling Human Neurological Disorders with Induced Pluripotent Stem Cells, 口頭, Megumu K. Saito, 13th Asian and Oceania Congress of Child Neurology, 2015/05/16, 国外
19. CAPS の臨床と疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態研究, 口頭, 齋藤潤, 第 114 回日本皮膚科学会総会, 2015/05/29, 国内
20. CAPS の iPS 研究について, 口頭, 齋藤潤, 第 3 回 CAPS 勉強会, 2015/07/25, 国内
21. iPS 細胞を用いた血液疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 第 26 回長崎障害者支援再生医療研究会, 2015/09/01, 国内
22. 再生医療用 iPS 細胞ストックの ドナー選択基準について, 口頭, 齋藤潤, レギュラトリーサイエンス学会, 2015/09/05, 国内
23. iPS 細胞を用いた病態解析の試み, 口頭, 齋藤潤, 小児リウマチ学会, 2015/10/10, 国内
24. iPS 細胞による小児免疫疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 臨床免疫学会, 2015/10/22, 国内
25. iPS 細胞を用いた 血液疾患の創薬に向けた研究, 口頭, 齋藤潤, 創薬シンポジウム, 2015/12/14, 国内
26. iPS 細胞を用いた血液疾患の疾患モデリング, 口頭, 齋藤潤, 細胞アッセイ研究会, 2016/01/19, 国内
27. iPS 細胞を用いた 自己炎症疾患研究の現状と展望, 口頭, 齋藤潤, 第 9 回自己炎症疾患研究会, 2016/02/06, 国内
28. 血液疾患 iPS 細胞モデルと創薬, 口頭, 齋藤潤, 第 15 回日本再生医療学会総会, 2016/03/17, 国内
29. iPS 細胞を用いた研究の現状について, 口頭, 齋藤潤, 国立病院機構治験・臨床研究推進連絡会議, 2016/03/25, 国内

30. iPS 細胞をもちいた自己炎症性疾患の病態解析, 口頭, 齋藤潤, 第 60 回日本リウマチ学会総会・学術集会, 2016/04/21, 国内
31. Defined laminin matrices を用いた 多能性幹細胞からの血管内皮細胞分化, 口頭, 齋藤潤, マトリクソーム科学 (ニッピ) 寄附研究部門 開設記念シンポジウム, 2016/06/02, 国内
32. Monocytic cell lines established from patient specific iPS cells serve a versatile platform for phenotype-based compound screening, 口頭, Megumu Saito, ヨーロッパリウマチ学会, 2016/06/10, 国外
33. 疾患 iPS 細胞を用いた血液・免疫難病の病態解析と創薬へ向けた研究, 口頭, 齋藤潤, 日本炎症・再生医学会, 2016/06/16, 国内
34. 自己炎症性疾患の iPS 細胞を用いた解析, 口頭, 齋藤潤, 日本炎症・再生医学会, 2016/06/17, 国内
35. iPS 細胞を用いた 先天性免疫疾患の解析について, 口頭, 齋藤潤, 第 14 回 iPS 細胞・再生医学研究会, 2016/07/01, 国内
36. Decoding the pathophysiology of immunological disorders using human iPS cells, 口頭, Megumu K. Saito, JAPAN-SPAIN JOINT WORKSHOP ON NANOMEDICINE RESEARCH, 2016/12/01, 国外
37. 疾患特異的 iPS 細胞樹立のための 基盤形成事業について, 口頭, 齋藤潤, 東京女子医科大学公開シンポジウム「自閉症・発達障害の成因解明と将来の治療に向けて」, 2017/01/07, 国内
38. iPS 細胞の医学応用へ向けた研究の現状について, 口頭, 齋藤潤, 京都私立病院協会講演会, 2017/01/24, 国内
39. 疾患特異的 iPS 細胞を用いた自己炎症性疾患の病態解析と創薬に向けたアプローチ, 口頭, 齋藤潤, 愛媛大学プロテオサイエンスセンターシンポジウム, 2017/02/11, 国内

吉田 善紀

1. 遺伝性心疾患症例に対する NGS を用いた遺伝子解析, ポスター, 吉田善紀, NGS 現場の会 第 2 回研究会, 平成 24 年 5 月, 国内
2. Efficient human iPS cells induction using MAPK inhibitors, ポスター, Hidaka Yokota, Yoshinori Yoshida, Misato Nishikawa, Akiko Oishi, Ikue Takei, Shinya Yamanaka, ISSCR 10th Annual Meeting, 平成 24 年 6 月, 国際
3. Comparison of hematopoietic differentiation efficiency among many iPS cell lines, ポスター, Masatoshi Nishizawa, Kazuhisa Chonabayashi, Akiko Oishi, Ikue Takei, Misato Nishikawa, Akifumi Takaori-Kondo, Shinya Yamanaka, and Yoshinori Yoshida, ISSCR 11th Annual Meeting, 平成 25 年 6 月, 国際
4. Comprehensive comparison of gene expression, genomic DNA methylation, and in vitro hematopoietic differentiation among many human iPS and ES cell lines, ポスター, Masatoshi Nishizawa, Yoshinori Yoshida, Kazuhisa Chonabayashi, Akiko Oishi, Ikue Takei, Misato Nishikawa, Yoko Morioka, Akifumi Takaori-Kondo, and Shinya Yamanaka, 55th ASH Annual Meeting and Exposition, 平成 25 年 12 月, 国際
5. Search for Pathogenesis of Acquired Myelodysplastic Syndromes using Reprogramming Technology. ポスター, Chonabayashi, K., Kawahara, M., Watanabe, A., Okita, K., Nishizawa,

- M., Takaori-Kondo, A., Yamanaka, S., and Yoshida, Y. ISSCR 11th Annual Meeting, 平成 25 年 6 月, 国際
6. Differentiation Phase-Dependent Factors Responsible for Variation in Hematopoietic Differentiation Propensity among Human Pluripotent Stem Cells Revealed by Genome-wide Analysis of Gene Expression and DNA Methylation. ポスター, Nishizawa, M., Chonabayashi, K., Oishi, A., Takei, I., Nishikawa, M., Takaori-Kondo, A., Yamanaka, S., and Yoshida, Y. ISSCR 12th Annual Meeting, 平成 26 年 6 月, 国際
 7. A Novel Purification Method for Cardiomyocytes and Endothelial Cells Derived From Human Pluripotent Stem Cells Using MicroRNA-responsive Messenger RNA. ポスター, Miki, K., Takahashi, S., Funakoshi, S., Yamanaka, S., Saito, H., and Yoshida, Y. American Heart Association Scientific Sessions 2014, 平成 26 年 11 月, 国際
 8. iPS technology revealed the genetic and functional diversity present in a single MDS patient. 口頭, Chonabayashi, K., Kawahara, M., Watanabe, A., Amano, N., Okita, K., Nishizawa, M., Kadowaki, N., Takaori-Kondo, A., Yamanaka, S., and Yoshida, Y. The 76th Annual Meeting of the Japanese Society of Hematology, 平成 26 年 10 月, 国際
 9. Patient-Specific Induced Pluripotent Stem Cells Recapitulate the Maturation Defect of Myelodysplastic Syndromes. ポスター, Chonabayashi, K., Kawahara, M., Okita, K., Nishizawa, M., Kadowaki, N., Takaori-Kondo, A., Yamanaka, S., and Yoshida, Y. 56th ASH Annual Meeting and Exposition, 平成 26 年 12 月, 国際
 10. Synthetic mRNA switches for detection and purification of cardiomyocytes and endothelial cells derived from human pluripotent stem cells. ポスター, Miki, K., Endo, K., Takahashi, S., Funakoshi, S., Yamanaka, S., Saito, H., and Yoshida, Y. The 18th Takeda Science Foundation Symposium on Bioscience, 平成 27 年 1 月, 国内
 11. Landscape of Transcriptional and Epigenetic Profile and Hematopoietic Differentiation Capacity of Human Pluripotent Stem Cells. ポスター, Nishizawa, M., Nishikawa, M., Takei, I., Chonabayashi, K., Takaori, A., Yamanaka, S., and Yoshida, Y. The 18th Takeda Science Foundation Symposium on Bioscience, 平成 27 年 1 月, 国内
 12. Efficient detection and purification of cells by synthetic microRNA switches, ポスター, 三木健嗣、遠藤慧、高橋誠弥、舟越俊介、山中伸弥、斎藤博英、吉田善紀, 第 14 回日本再生医療学会総会, 平成 27 年 3 月, 国内
 13. Efficient detection and purification of cells by synthetic microRNA switches. 口頭, Miki, K., Endo, K., Takahashi, S., Funakoshi, S., Yamanaka, S., Saito, H. and Yoshida, Y. The 14th Congress of the Japanese Society for Regenerative Medicine 平成 27 年 3 月 国内
 14. A novel clinically applicable method for purification of human pluripotent stem cell derived cells using miRNA responsive synthetic mRNAs. ポスター, Kenji Miki, Kei Endo, Seiya Takahashi, Shunsuke Funakoshi, Tadashi Takaki, Chikako Okubo, Kenji Osafune, Shinya Yamanaka, Hirohide Saito and Yoshinori Yoshida, ISSCR 13th Annual Meeting 平成 27 年 6 月 国際
 15. Landscape of Transcriptional and Epigenetic Profile and Hematopoietic Differentiation Capacity of Human Pluripotent Stem Cells, ポスター, Masatoshi Nishizawa, Misato Nishikawa,

- Ikue Takei, Kazuhisa Chonabayashi, Akifumi Takaori-Kondo, Shinya Yamanaka, and Yoshinori Yoshida, ISSCR 13th Annual Meeting 平成 27 年 6 月 国際
16. Efficient detection and purification of cell populations using synthetic microRNA switches, 口頭, 吉田善紀, 第 6 回 Molecular Cardiovascular Conference II 平成 27 年 9 月 国内
 17. サイエンスが切り拓く未来～基礎研究が切り拓く未来の可能性～, 口頭, 吉田善紀, 中外製薬寄附講座「現代医療最前線への挑戦」(早稲田大学講義) 平成 23 年 11 月 国内
 18. iPS 細胞と再生医療について, 口頭, 吉田善紀, 第 11 回癒しの環境研究会全国大会 平成 23 年 12 月 国内
 19. Analysis of differentiation capacity from ES and iPS cells. 口頭, Yoshinori Yoshida, ISCBI Workshop on the delivery of high quality iPSC resources 平成 24 年 2 月 国際
 20. サイエンスが切り拓く未来②～基礎研究が切り拓く未来の可能性～ 口頭 吉田善紀 中外製薬寄附講座「現代医療最前線への挑戦～医療問題への主体的向き合い方」(早稲田大学講義) 平成 24 年 11 月 国内
 21. ヒト ES/iPS 細胞の心筋分化誘導における細胞株間の分化指向性の比較解析, 口頭, 吉田善紀 第 49 回日本移植学会総会「教育セッション 1」 平成 25 年 9 月 国内
 22. サイエンスが切り拓く未来①～基礎研究が切り拓く未知の可能性～ 口頭 吉田善紀 中外製薬寄附講座「現代医療最前線への挑戦～医療問題への主体的向き合い方」(早稲田大学講義) 平成 25 年 11 月 国内
 23. Comparative analysis of differentiation capacity toward the mesodermal cells and cardiovascular disease research using iPS cells. 口頭 Yoshinori Yoshida The 7th Takeda Science Foundation Symposium on PharmaSciences; iPS Cells in Drug Discovery & Development. Session6 Cardiac disease 平成 26 年 1 月 国内
 24. 疾患 iPS 細胞を活用した創薬研究の可能性と課題 口頭 吉田善紀 塩野義製薬講演 平成 26 年 9 月 国内
 25. 多能性幹細胞由来分化細胞の新しい細胞選別法と疾患研究への応用, 口頭, 吉田善紀, レギュラトリーサイエンス公開シンポジウム, 平成 27 年 2 月 国内
 26. A new cell purification method for pluripotent stem cell-based regeneration, 口頭, Yoshinori Yoshida, The 3rd Munich Conference on Cardiac Development (German Heart Centre Munich), 2016/06/03, 国外.
 27. iPS 細胞の分化能評価, 口頭, 吉田善紀, Molecular Cardiovascular Conference II 東京ドームホテル, 2016/09/02, 国内.
 28. Epigenetic variation between human induced pluripotent stem cell lines is an indicator of differentiation capacity, ポスター, Masatoshi Nishizawa, Yoshinori Yoshida, Cell Symposia:10Years of iPSCs (Claremont Hotel & Spa, Berkeley, CA), 2016/09/26, 国外.
 29. 循環器領域における iPS 細胞の臨床応用に向けた研究, 口頭, 吉田善紀, 第 10 回日本薬局学会学術総会 国立京都国際会館, 2016/10/30, 国内.
 30. iPS-cell derived cardiomyocyte disease modeling, 口頭, Yoshinori Yoshida, American Heart Association Scientific Session 2016 (New Orleans Morial Convention Center), 2016/11/15, 国外

31. iPS Technology Revealed the Genetic and Functional Diversity Present in a Secondary AML Patient, ポスター, 蝶名林和久, 吉田善紀, American Society of Humatology “58th Annual Meeting & Exposition” (San Diego Convention Center), 2016/12/05, 国外
 32. 多能性幹細胞からの心筋細胞分化成熟誘導法の開発, 口頭, 吉田善紀, 第15回京大病院 iPS 細胞・再生医学研究会, 2017/01/19, 国内.
- Stably Expressed APEX2 Identifies the Integration of iPSC-derived Cardiomyocytes in a Mouse Model of Myocardial Infarction, ポスター, 羽溪健, 吉田善紀, 第80回日本循環器学会学術集会 仙台国際センター, 2016/03/19, 国内.

野々山 恵章

1. Honma K, Imai K, Kamae C, Ishida H, Ito Y, Kojima S, Yokosuka T, Kanegane H, Morio T, Sasahara Y, Fujiwara T, Harigae H, Hashii Y, Ohara O, Nonoyama S. Clinical features and immunological abnormalities of GATA2 deficiency in JAPAN. ポスター発表, 15th Biennial Meeting of the European Society for Immunodeficiencies (ESID 2012), 2012/10/4, 国外
2. C. Kamae, N. Nakagawa, H. Sato, K. Honma, N. Mitsuiki^{3,4}, O. Ohara, H. Kanegane, S. Pasic, Q. Pan-Hammarström, M. C. van Zelm, T. Morio, K. Imai, S. Nonoyama. Classification of common variable immunodeficiency by quantification of T cell receptor recombination excision circles (TREC) and IG kappa-deleting recombination excision circles (KREC). ポスター発表, 15th Biennial Meeting of the European Society for Immunodeficiencies (ESID 2012), 2012/10/5, 国外
3. K. Imai, Y. Tsujita, K. Mitsui-Sekinaka, N. Mitsuiki, T. Takashima, T. Okano, Y. Aoki, F. Kimoto, M. Inoue, F. Iwasaki, T. Kaneko, T. Waragai, H. Sano, A. Kikuta, T. Morio, S. Nonoyama. Hematopoietic stem cell transplantation for the patients with activated PI3K-delta syndrome. ポスター発表, 15th Biennial Meeting of the European Society for Immunodeficiencies (ESID 2014), 2014/10/29-11/2, 国外
4. T. Takashima, Y. Tsujita, T. W. Yeh, N. Mitsuiki, H. Kanegane, S. Kracker, A. Durandy, S. Nonoyama, T. Morio, K. Imai. Clinical and immunological features of patients with gain-of-function PIK3CD mutations in Japan. ポスター発表, 15th Biennial Meeting of the European Society for Immunodeficiencies (ESID 2014), 2014/10/29-11/2, 国外
5. Kanako Mitsui-Sekinaka, Kohsuke Imai, Satoshi Okada, and Shigeaki Nonoyama. Activated PI3 Kinase Delta Syndrome (APDS)-like immunodeficiency caused by PTEN mutation. ポスター発表, 17th Biennial Meeting of the European Society for Immunodeficiencies (ESID 2016), 2016/9/22-23, 国外.
6. Yujin Sekinaka, Noriko Mitsuiki, Kohsuke Imai, Shigeaki Nonoyama. Common variable immunodeficiency caused by FANCD1 mutations. ポスター発表, 17th Biennial Meeting of the European Society for Immunodeficiencies (ESID 2016), 2016/9/22-23, 国外.

(3) 「国民との科学・技術対話社会」に対する取り組み

中畑 龍俊

1. 中畑龍俊：難治性血液疾患と iPS 細胞. 再生つばさの会（再生不良性貧血、骨髄異形成症候群、発作性夜間ヘモグロビン素尿症患者・家族の会）「横浜医療講演会」 2012 年 9 月 8 日 神奈川県総合薬事保健センター
2. 中畑龍俊：iPS 細胞の研究が未来にもたらす光—小児疾患を中心に. 第 16 回小児がん親の会 2012 年 5 月 26 日 症と大学杉浦ホール
3. 中畑龍俊：難治性血液疾患と iPS 細胞. 神奈川県移植を考える会・再生つばさの会共催「横浜医療講演会・個別相談会」 2012 年 9 月 8 日 神奈川県総合薬事保健センター
4. 中畑龍俊：小児疾患における iPS 細胞の応用. 第 7 回よこあみ小児科懇話会 2012 年 12 月 13 日 同愛記念病院
5. 中畑龍俊：iPS 細胞の小児難治性疾患への応用. 長野県立こども病院研修会 2013 年 1 月 22 日 長野県立こども病院
6. 中畑龍俊：患者さんから樹立する iPS 細胞を用いたこれからの医療の可能性. 富山大学大学院特別セミナー 2013 年 2 月 15 日 富山大学医学部小児科学
7. 中畑龍俊：iPS 細胞による疾患モデル樹立と創薬への展望. 日経バイオテクプロフェッショナルセミナー「次の 10 年間 iPS 細胞実用化をリードする iPS 細胞創薬の現状と課題」 2013 年 6 月 19 日 コクヨホール
8. 中畑龍俊：iPS 細胞研究が切り開く未来の医療. 日本学術会議公開学術講演会「未来社会を築く生命科学と医療のフロンティア」 2013 年 8 月 3 日 京都大学薬学部記念講堂
9. 中畑龍俊：さい帯血造血幹細胞発見秘話と iPS 細胞ストックの臍帯血活用の未来像. さい帯血移植 1 万例突破記念事業「さらなる飛躍へのステップ」記念講演会 2013 年 9 月 28 日 TKP 田町カンファレンスセンター
10. 中畑龍俊：小児疾患における iPS 細胞の応用. 北海道つばみの会 40 周年記念事業 2013 年 11 月 16 日 札幌アスペンホテル
11. 中畑龍俊：iPS 細胞が切り開くこれからの医療. 新産業フォーラム・未来展 2014 2014 年 3 月 6 日 名古屋国際会議場
12. 中畑龍俊：iPS 細胞が切り開く今後の医療. 大阪ロータリークラブ例会 2014 年 4 月 11 日 リーガロイヤル大阪
13. 中畑龍俊：iPS 細胞が切り開くこれからの医療. 島根大学医学部大学院特別講義・講演会（大学院生、学生、教職員対象） 2014 年 9 月 26 日 島根大学臨床大講堂
14. 中畑龍俊：アカデミアの取り組み. Bio Japan 2015 主催者セミナー（「新法適用から 1 年で「再生医療はどう変わったか（1）～産官学から俯瞰～」 2015 年 10 月 14-16 日（16 日）パシフィコ横浜アネックスホール
15. 中畑龍俊：iPS 細胞を用いた今後の小児医療. 第 19 回中国地区小児免疫薬物療法研究会 2016 年 2 月 27 日 リーガロイヤルホテル広島 3F 宮島の間
16. 中畑龍俊：iPS 細胞の小児難治性疾患への応用. 岡山県小児科医会総会・講演会 2016 年 4 月 10 日 岡山コンベンションセンター
17. 中畑龍俊：iPS 細胞研究の最前線. 第 40 回日本小児皮膚科学会 2016 年 7 月 2 日 ANA クラウド 24 プラザホテル広島

18. 中畑龍俊：臍帯血中の造血幹細胞発見秘話と最近の iPS 細胞研究. 第 4 回臍帯血による再生医療研究会学術集会 2016 年 7 月 24 日 大阪国際会議場
19. 中畑龍俊：iPS 細胞技術を用いた難病の病態解析と創薬 (Elucidating Intractable Disease Mechanisms and Conducting Drug Discovery Using iPS Cell Techniques). [セッション「難病・希少疾患研究からの創薬」における講演及びパネリスト] 第 13 回 DIA 日本年会 2016 年 11 月 13 日 東京ビックサイト

齋藤 潤

1. iPS と小児疾患、どこまで来たの？, 齋藤潤, ラジオ Nikkei 小児診療 Up-to-DATE, 2014/10/08, 国内
2. 迫る再生医療革命, 齋藤潤, NHK 今日の健康, 2015/04/27, 国内
患者さんの細胞で病気を調べる, 齋藤潤, NHK 文化センター京都教室 特別講座, 2016/12/28, 国内

吉田 善紀

1. 未来の再生医療に向けて iPS 細胞研究 吉田善紀 栃木県那須地区中学校教育研究会講演会 平成 25 年 8 月 国内
2. iPS 細胞研究の現状について 吉田善紀 兵庫県立北摂三田高等学校「インスパイア講演会」平成 25 年 10 月 国内
3. 夢の再生医療と iPS 細胞 吉田善紀 新潟 IPC 財団技術振興積立金活用事業講演会 平成 26 年 7 月 国内
4. iPS 細胞研究の現状について 吉田善紀 兵庫県立北摂三田高等学校「人間科学類型特別授業」平成 26 年 12 月 国内
5. 未来の再生医療に向けて iPS 細胞研究, 口頭, 吉田善紀, 教育フォーラム in 栃木, 平成 27 年 2 月 国内
6. Human pluripotent stem cell-derived cardiomyocytes as tools for development of new therapies, 吉田善紀, CDB-CiRA Exchange Seminar 多細胞システム形成研究センター, 2016/06/16, 国内.
7. iPS 細胞入門、研究の実際と再生医療の展望, 吉田善紀, 兵庫県立川西緑台高等学校, 2017/01/24, 国内.
8. 患者由来 iPS 細胞を活用した有効性創薬応用, 吉田善紀, iPS 細胞ビジネス協議会第 23 回情報交換会 京都リサーチパーク, 2017/03/30, 国内

野々山 恵章

1. 患者相談会, 日本免疫不全症研究会 (東京), 2017/1, 国内

(4) 特許出願

該当なし

平成 28 年度 委託研究開発成果報告書

I. 基本情報

事業名： (日本語) 再生医療実現拠点ネットワークプログラム 疾患 iPS 細胞を活用した難病研究

(英語) Research Center Network for Realization of Regenerative Medicine / The Program for Intractable Diseases Research utilizing Disease-specific iPS cells

研究開発課題名： (日本語) 「難治性血液・免疫疾患由来の疾患特異的 iPS 細胞の樹立と新規治療法開発」

(英語) Establishment of disease-specific induced pluripotent stem (iPS) cells derived from refractory blood and immunological disease patients, and development of new medical treatment

研究開発担当者 (日本語) 東京大学・医科学研究所・准教授・大津 真

所属 役職 氏名： (英語) Makoto Otsu, Associate Professor, Institute of Medical Science, University of Tokyo

実施期間： 平成 28 年 4 月 1 日 ～ 平成 29 年 3 月 31 日

分担研究 (日本語) 血液・免疫異常症における iPS 細胞研究

開発課題名： (英語) Research of blood and immune disorders using iPS cells

研究開発分担者 (日本語) 東京大学・医科学研究所・特任助教・頼 貞儀

所属 役職 氏名： (英語) Chen-Yi Lai, Assistant Professor, Institute of Medical Science, University of Tokyo

II. 成果の概要（総括研究報告）

研究開発代表者： 京都大学・iPS細胞研究所・中畑 龍俊
総括研究報告を参照。

III. 成果の外部への発表

(1) 学会誌・雑誌等における論文一覧（国内誌 21 件、国際誌 21 件）

1. Kumano K, Arai S, Hosoi M, Taoka K, Takayama N, Otsu M, Nagae G, Ueda K, Nakazaki K, Kamikubo Y, Eto K, Aburatani H, Nakauchi H, Kurokawa M. Generation of induced pluripotent stem cells from primary chronic myelogenous leukemia patient samples. *Blood* 2012;119:6234-6242.
2. 細井 雅孝, 熊野 恵城, 田岡 和城, 荒井 俊也, 植田 航希, 上久保 靖彦, 高山 直也, 大津 真, 江藤 浩之, 中内 啓光, 黒川 峰夫. 二次性骨髄線維症患者細胞に由来する iPS 細胞によるモデル作成と解析(Generation and analysis of cell model with iPS cells derived from secondary myelofibrosis patient primary cells). 日本癌学会総会記事. 2012, 71th, Page 291-292.
3. Nakanishi M, Otsu M. Development of Sendai virus vectors and their potential applications in gene therapy and regenerative medicine. *Current gene therapy* 2012;12:410-416.
4. Otsu M, Nakauchi H. [Utilization of the ES/iPS cell technology for hematopoietic stem cell transplantation]. *Nihon rinsho Japanese journal of clinical medicine* 2012;70 Suppl 2:146-150.
5. 大津 真. ステムセルバンクの希少疾患・難病への治療応用. 内分泌・糖尿病・代謝内科. 2013, 37, Page 578-583.
6. Hirose S, Takayama N, Nakamura S, Nagasawa K, Ochi K, Hirata S, Yamazaki S, Yamaguchi T, Otsu M, Sano S, Takahashi N, Sawaguchi A, Ito M, Kato T, Nakauchi H, Eto K. Immortalization of erythroblasts by c-MYC and BCL-XL enables large-scale erythrocyte production from human pluripotent stem cells. *Stem cell reports* 2013;1:499-508.
7. Lin HT, Otsu M, Nakauchi H. Stem cell therapy: an exercise in patience and prudence. *Philos Trans R Soc Lond B Biol Sci* 2013;368:20110334.
8. Razak SR, Ueno K, Takayama N, Nariai N, Nagasaki M, Saito R, Koso H, Lai CY, Murakami M, Tsuji K, Michiue T, Nakauchi H, Otsu M, Watanabe S. Profiling of microRNA in human and mouse ES and iPS cells reveals overlapping but distinct microRNA expression patterns. *PloS one* 2013;8:e73532.
9. Saito T, Yano F, Mori D, Ohba S, Hojo H, Otsu M, Eto K, Nakauchi H, Tanaka S, Chung UI, Kawaguchi H. Generation of Col2a1-EGFP iPS cells for monitoring chondrogenic differentiation. *PloS one* 2013;8:e74137.
10. Suzuki N, Yamazaki S, Yamaguchi T, Okabe M, Masaki H, Takaki S, Otsu M, Nakauchi H. Generation of engraftable hematopoietic stem cells from induced pluripotent stem cells by way of teratoma formation. *Molecular therapy : the journal of the American Society of Gene Therapy* 2013;21:1424-1431.

11. Abdul Razak SR, Baba Y, Nakauchi H, Otsu M, Watanabe S. DNA Methylation Is Involved in the Expression of miR-142-3p in Fibroblasts and Induced Pluripotent Stem Cells. *Stem cells international* 2014;2014:101349.
12. 大津 真. 人工多能性幹細胞(iPS 細胞)と疾患特異的 T 細胞. *日本臨床免疫学会会誌*. 2014, 37, Page 286.
13. 大津 真. 免疫疾患における再生医療 多能性幹細胞の T 細胞研究への応用. *日本臨床免疫学会会誌*. 2014, 37, Page 257.
14. 大津 真. iPS 細胞研究と難病治療戦略. *最新医学*. 2014, 69, Page 2175-2180.
15. Higuchi T, Kawagoe S, Otsu M, Shimada Y, Kobayashi H, Hirayama R, Eto K, Ida H, Ohashi T, Nakauchi H, Eto Y. The generation of induced pluripotent stem cells (iPSCs) from patients with infantile and late-onset types of Pompe disease and the effects of treatment with acid-alpha-glucosidase in Pompe's iPSCs. *Molecular genetics and metabolism* 2014;112:44-48.
16. Hosoi M, Kumano K, Taoka K, Arai S, Kataoka K, Ueda K, Kamikubo Y, Takayama N, Otsu M, Eto K, Nakauchi H, Kurokawa M. Generation of induced pluripotent stem cells derived from primary and secondary myelofibrosis patient samples. *Experimental hematology* 2014;42:816-825.
17. Itaba N, Wairagu PM, Aramaki N, Yasui T, Matsumi Y, Kono Y, Phan AN, Otsu M, Kunisada T, Nakamura Y, Okano H, Jeong Y, Shiota G. Nuclear receptor gene alteration in human induced pluripotent stem cells with hepatic differentiation propensity. *Hepatology research : the official journal of the Japan Society of Hepatology* 2014;44:E408-419.
18. Lai CY, Yamazaki S, Okabe M, Suzuki S, Maeyama Y, Iimura Y, Onodera M, Kakuta S, Iwakura Y, Nojima M, Otsu M, Nakauchi H. Stage-specific roles for CXCR4 signaling in murine hematopoietic stem/progenitor cells in the process of bone marrow repopulation. *Stem cells* 2014;32:1929-1942.
19. Lee H, Lee JK, Park MH, Hong YR, Marti HH, Kim H, Okada Y, Otsu M, Seo EJ, Park JH, Bae JH, Okino N, He X, Schuchman EH, Bae JS, Jin HK. Pathological roles of the VEGF/SphK pathway in Niemann-Pick type C neurons. *Nature communications* 2014;5:5514.
20. Nakahara F, Kitaura J, Uchida T, Nishida C, Togami K, Inoue D, Matsukawa T, Kagiya Y, Enomoto Y, Kawabata KC, Chen-Yi L, Komeno Y, Izawa K, Oki T, Nagae G, Harada Y, Harada H, Otsu M, Aburatani H, Heissig B, Hattori K, Kitamura T. Hes1 promotes blast crisis in chronic myelogenous leukemia through MMP-9 upregulation in leukemic cells. *Blood* 2014;123:3932-3942.
21. Lin HT, Masaki H, Yamaguchi T, Wada T, Yachie A, Nishimura K, Ohtaka M, Nakanishi M, Nakauchi H, Otsu M. An assessment of the effects of ectopic gp91phox expression in XCGD iPSC-derived neutrophils. *Mol Ther Methods Clin Dev* 2015;2:15046.
22. Otsu M. [Patient-derived iPSC cells as a tool for gene therapy research]. *Rinsho Ketsueki* 2015;56:1016-1024.
23. 大津 真. 【再生医療 2015 幹細胞と疾患 iPSC 細胞の研究最前線】 (第 3 章)疾患 iPSC 細胞 血液・免疫系疾患における疾患特異的 iPSC 細胞研究. *実験医学*. 2015, 33, Page 304-308.
24. 大津 真. iPSC 細胞の今後の展開 先天性免疫不全症研究における iPSC 細胞の活用. *Cytometry Research*. 2015, 25, Page 35.

25. 大津 真. 人工多能性幹細胞(iPS 細胞)の疾患研究への応用(解説). 日本 SIDS・乳幼児突然死予防学会雑誌. 2015, 15, Page 11-15.
26. 大津 真. Bench-to-bedside research in hematology and gene therapy: new insights in regulation of hematopoietic stem cells using gene manipulation 患者由来 iPS 細胞を用いた遺伝子治療研究(解説). 臨床血液. 2015, 56, Page 1016-1024.
27. 大津 真. iPS 細胞を用いた免疫難病の治療戦略(解説). 炎症と免疫. 2015, 23, Page 544-550.
28. Otsu M. Perspectives on stem cell gene therapy for genetic disorders. 2015.
29. 長谷川久紀、川畑仁人、高木春奈、大津 真、上阪 等. 多発性筋炎・皮膚筋炎の Update ヒト iPS 細胞由来筋細胞は筋芽細胞同様に筋炎を増悪し得るサイトカインを産生する. 日本リウマチ学会総会. 2015, 59th, Page 231.
30. 大津 真. 幹細胞 iPS の ABC. 2015, 59th, Page 246.
31. 長谷川久紀、川畑仁人、高木春奈、大津 真、上阪 等. ヒト人工多能性幹細胞由来の筋細胞は再生筋線維と同様のサイトカイン産生能をもつ. 日本臨床免疫学会会誌. 2015, 38, Page 323.
32. Toriumi T, Takayama N, Murakami M, Sato M, Yuguchi M, Yamazaki Y, Eto K, Otsu M, Nakauchi H, Shirakawa T, Isokawa K, Honda MJ. Characterization of mesenchymal progenitor cells in the crown and root pulp of primary teeth. Biomed Res 2015;36:31-45.
33. Yamamoto S, Otsu M, Matsuzaka E, Konishi C, Takagi H, Hanada S, Mochizuki S, Nakauchi H, Imai K, Tsuji K, Ebihara Y. Screening of drugs to treat 8p11 myeloproliferative syndrome using patient-derived induced pluripotent stem cells with fusion gene CEP110-FGFR1. PloS one 2015;10:e0120841.
34. Otsu M. 造血幹細胞 疾患特異的 iPS 細胞を利用した造血研究. Annual Review 血液 2016. Page 14-20.
35. 大津 真. 【先天代謝異常症-エキスパートによる最新情報-】 テクノロジーの進歩 iPS 細胞. 小児科診療. 2016, 79, Page 739-744.
36. Lin HT, Okumura T, Yatsuda Y, Ito S, Nakauchi H, Otsu M. Application of Droplet Digital PCR for Estimating Vector Copy Number States in Stem Cell Gene Therapy. Hum Gene Ther Methods 2016;27:197-208.
37. 夏本文輝、庄田宏文、藤尾圭志、大津 真、山本一彦. 全身性エリテマトーデス疾患特異的 iPS 細胞を用いた免疫細胞分化・機能解析研究. 日本臨床免疫学会会誌. 2016, 39, Page 397.
38. 長谷川久紀、川畑仁人、頼 貞儀、大津 真、上阪 等. 筋原性転写因子 MyoD を導入されたヒト人工多能性幹細胞の多クローン集団の樹立と筋細胞への分化. 日本臨床免疫学会会誌. 2016, 39, Page 398.
39. 夏本文輝、庄田宏文、藤尾圭志、大津 真、山本一彦. iPS 細胞を用いた自己免疫疾患研究 (総説). 日本臨床免疫学会会誌. 2017, 40, Page 48-53.
40. 浅島 弘充、飯塚 麻菜、安藤 美樹、頼 貞儀、坪井 洋人、廣田 智哉、高橋 広行、松本 功、大津 真、住田 孝之. シェーグレン症候群の CD4+T 細胞由来 iPS 細胞から誘導した樹状細胞の機能解析. 日本内科学会雑誌. 2017, 106, Page 186.
41. 佐野 秀人、大津 真、鈴木 優子、田中 宏樹、岩城 孝行、Tomasz B.、長橋 ことみ、金山 尚裕、浦野 哲盟. Plasminogen Activator Inhibitor-1 欠損患者 iPS 細胞由来内皮細胞の機能解析. 日本生理学雑誌. 2017, 79, Page 7.

42. Ishida T, Takahashi S, Lai CY, Nojima M, Yamamoto R, Takeuchi E, Takeuchi Y, Higashihara M, Nakauchi H, Otsu M. Multiple allogeneic progenitors in combination function as a unit to support early transient hematopoiesis in transplantation. *J Exp Med* 2016;213:1865-1880.

(2) 学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表

1. 二次性骨髄線維症患者細胞に由来する iPS 細胞によるモデル作成と解析(Generation and analysis of cell model with iPS cells derived from secondary myelofibrosis patient primary cells). 口頭, 細井 雅孝, 熊野 恵城, 田岡 和城, 荒井 俊也, 植田 航希, 上久保 靖彦, 高山 直也, 大津 真, 江藤 浩之, 中内 啓光, 黒川 峰夫. 日本癌学会総会. 2012/9, 国内
2. 「自己免疫疾患治療の現状と分子標的治療薬への展望」疾患特異的 iPS 細胞からのアプローチ. 口頭, 大津 真. 第 43 回ヒューマンサイエンス総合研究セミナー, 2013/2, 国内
3. Application of Stem Cell Technologies to the Clinic. 口頭, 大津 真. Symposium held by IMSUT Dean Kiyono., 2013/4, 国内
4. Alpharetroviral Vectors: Demonstration of Safe And Efficacious Gene Therapy Using X-CGD iPSCs. 口頭, Lin Huan-Ting, Makoto Otsu, Hiromitsu Nakauchi. 19th Annual Meeting of the Japanese Society of Gene Therapy, 2013/7, 国内
5. Elucidation of Pathophysiological Mechanisms in Wiskott Aldrich Syndrome Using Induced Pluripotent Stem Cells (iPSC). 口頭, Mozghan Khalaj Amirhosseini, Makoto Otsu, Hiromitsu Nakauchi. 19th Annual Meeting of the Japanese Society of Gene Therapy, 2013/7, 国内
6. Possible Therapeutic Strategy for Genetic Diseases Using Hematopoietic Stem Cells Generated from Induced Pluripotent Stem Cells. 口頭, Makoto Otsu, Nao Suzuki, Satoshi Yamazaki, Tomoyuki Yamaguchi, Motohito Okabe, Hideki Masaki, Satoshi Takaki, and Hiromitsu Nakauchi. ESGCT and SETGyC Collaborative Congress, 2013/10, 国際
7. 疾患特異的 iPS 細胞による難治性疾患の治療戦略. 口頭, 大津 真. 第 19 回シェーグレン症候群セミナー, 2014/5, 国内
8. Patient-specific iPS cells as an ideal model system for optimizing gene therapy. 口頭, Makoto Otsu. 33th International Congress of the ISBT, 2014/5, 国際
9. Ectopic gp91phox Expression is Detrimental to Patient Autologous XCGD iPS cell-Derived Neutrophils. 口頭, Huan-ting Lin, Makoto Otsu, Hiromitsu Nakauchi. 20th Annual Meeting of the Japanese Society of Gene Therapy, 2014/8, 国内
10. Elucidation of Pathophysiology of Microthrombocytopenia in Wiskott Aldrich Syndrome using iPS Cells. 口頭, Amirhosseini M. K., Morio T., Imai K., Nakauchi H., Otsu M. 20th Annual Meeting of the Japanese Society of Gene Therapy, 2014/8, 国内
11. Utilization of induced Pluripotent Stem Cells for Gene Therapy Research. 口頭, Makoto Otsu. 20th Annual Meeting of the Japanese Society of Gene Therapy, 2014/8, 国内
12. 人工多能性幹細胞(iPS 細胞)と疾患特異的 T 細胞. 口頭, 大津 真. 第 42 回日本臨床免疫学会, 2014/9, 国内

13. 免疫疾患における再生医療 多能性幹細胞の T 細胞研究への応用. 口頭, 大津 真. 第 42 回日本臨床免疫学会, 2014/9, 国内
14. Patient-derived iPS cells as a tool for gene therapy study. 口頭, 大津 真. 第 76 回日本血液学会, 2014/11, 国内
15. Ectopic expression of gp91phox has detrimental effects on XCGD iPS cell-derived neutrophils. 口頭, Huan-ting Lin, Makoto Otsu, Hiromitsu Nakauchi. 第 76 回日本血液学会, 2014/11, 国内
16. Elucidation of Pathophysiology of Platelet Abnormality in Wiskott Aldrich Syndrome Using induced Pluripotent Stem Cells. 口頭, Amirhosseini M. K., Morio T., Imai K., Nakauchi H., Otsu M. 第 76 回日本血液学会, 2014/11, 国内
17. 人工多能性幹細胞 (iPS 細胞) を用いた血液・免疫疾患研究. 口頭, 大津 真. 第 4 回小児免疫不全セミナー, 2015/2, 国内
18. 人工多能性幹細胞(iPS 細胞)の疾患研究への応用. 口頭, 大津 真. 第 21 回日本 SIDS・乳幼児突然死予防学会, 2015/3, 国内
19. ヒト人工多能性幹細胞由来の筋細胞は再生筋線維と同様のサイトカイン産生能をもつ. 口頭, 長谷川久紀、川畑仁人、高木春奈、大津 真、上阪 等. 第 59 回日本リウマチ学会総会, 2015/4, 国内
20. 幹細胞の APC. 口頭, 大津 真. 第 59 回日本リウマチ学会総会, 2015/4, 国内
21. 血液・免疫疾患研究への iPS 細胞の応用. 口頭, 大津 真. 第 11 回北関東小児がんセミナー, 2015/5, 国内
22. iPS 細胞の今後の展開 先天性免疫不全症研究における iPS 細胞の活用. 口頭, 大津 真. 日本サイトメトリー学会, 2015/7, 国内
23. Estimation of vector copy number states by droplet digital PCR. ポスター, Lin Huan-Ting, Makoto Otsu. 21th Annual Meeting of the Japanese Society of Gene Therapy, 2015/7, 国内
24. 遺伝性難病の治療法開発における iPS 細胞による疾患モデルの活用. 口頭, 大津 真. 第 20 回日本ライソゾーム病研究会, 2015/10, 国内
25. ヒト人工多能性幹細胞由来の筋細胞は再生筋線維と同様のサイトカイン産生能をもつ. 口頭, 長谷川久紀、川畑仁人、高木春奈、大津 真、上阪 等. 第 43 回日本臨床免疫学会, 2015/10, 国内
26. 血液免疫難病に対する新たな治療戦略-疾患特異的 iPS 細胞を用いた創薬から新規移植法の開発まで-. 口頭, 大津 真. 第 27 回宮崎造血因子研究会, 2016/9, 国内
27. 全身性エリテマトーデス疾患特異的 iPS 細胞を用いた免疫細胞分化・機能解析研究. ポスター, 夏本文輝、庄田宏文、藤尾圭志、大津 真、山本一彦. 第 44 回日本臨床免疫学会, 2016/9, 国内
28. 筋原性転写因子 MyoD を導入されたヒト人工多能性幹細胞の多クローン集団の樹立と筋細胞への分化. ポスター, 長谷川久紀、川畑仁人、頼 貞儀、大津 真、上阪 等. 第 44 回日本臨床免疫学会, 2016/9, 国内
29. 血液・免疫疾患における iPS 細胞研究戦略. 口頭, 大津 真. 第 9 回先進血液学レクチャー, 2016/11, 国内
30. シェーグレン症候群の CD4+T 細胞由来 iPS 細胞から誘導した樹状細胞の機能解析. 口頭, 浅島 弘充、飯塚 麻菜、安藤 美樹、頼 貞儀、坪井 洋人、廣田 智哉、高橋 広行、松本 功、大津 真、住田 孝之. 日本内科学会, 2017/2, 国内

(3) 「国民との科学・技術対話社会」に対する取り組み

1. 「自己免疫疾患治療の現状と分子標的治療薬への展望」疾患特異的 iPS 細胞からのアプローチ. 大津 真. 第43回ヒューマンサイエンス総合研究セミナー, 2013/2, 国内
2. もっと知りたい iPS 細胞. 大津 真. 東京大学医科学研究所附属病院・第31回市民公開医療懇談会, 2013/2, 国内
3. もっと知りたい iPS 細胞. 大津 真. 港区立御成門中学校・第1回出張授業, 2013/9, 国内
4. もっと知りたい iPS 細胞. 大津 真. 港区立御成門中学校・第2回出張授業, 2015/3, 国内
5. 遺伝性難病の治療法開発における iPS 細胞による疾患モデルの活用. 大津 真. 第20回日本ライソゾーム病研究会, 2015/10, 国内
6. 世界一わかりやすい iPS 細胞. 「iPS 細胞の活用 ~難病と闘う先進医療の今後~」大津 真. 医科学研究所特別セミナー, 2015/12, 国内

(4) 特許出願

該当なし