

研究課題別事後評価結果

1. 研究課題名：ヒト人工染色体を用いた iPS 細胞の作製と遺伝子・再生医療
2. 研究代表者名及び主たる研究参加者名 (研究機関名・職名は研究参加期間終了時点):
研究代表者
押村 光雄 (鳥取大学染色体工学研究センター 教授)
主たる共同研究者
角 昭一郎 (京都大学再生医科学研究所 教授) (~平成 22 年 3 月)
3. 事後評価結果

ヒト人工染色体(HAC)による iPS 細胞の作製、及びその実証にあたる疾患細胞への治療遺伝子導入などの染色工学的な基本技術の構築について、当初計画に沿って進展した。しかし、HAC の導入効率の低さや安全性の証明について課題を残し、治療法としての重要性の明確化に今一步至らなかったことは残念である。

HAC 技術はユニークで独創性も高く、本研究ではその優位性が示されたが、国際的な遺伝子治療の潮流からは、その安全性や効率の点で遅れをとっている。今後の開発を進めるにあたり、特定の疾患をもって HAC が真に有効か、安全性を確保することができるのかを検証する必要性を強く感じた。

積極的に知的財産権を確保し、ベンチャー企業を通じた技術の社会的還元を進めており、国内外の研究者や産業界との共同研究も活発に行われた。今後は、臨床応用の早期実現に向けて、ARO などのネットワークとの連携も必要となってくるであろう。

Duchenne 型筋ジストロフィー治療への応用は、iPS 細胞と HAC 技術の長所を組み合わせた独自技術であり評価できるが、やはり実際に治療に利用されない限り目標を達成したとは言えない。今後の戦略は必ずしも楽観的ではなく、特定の疾患に絞りこみ、遺伝子治療が進んでいる欧州の研究者らと実用化に向けた議論を重ね、治療応用へ向けた取り組みを迅速に進めることが必要である。