

## 1PL03 iPS細胞研究の現状と医療応用に向けた取り組み Recent Progress in iPS Cell Research and Application



日 時:12月6日(水) 17:10~18:05  
会 場:第13会場(神戸国際会議場 1階 メインホール)  
座 長:阿形 清和(学習院大学理学部生命科学科)

**山中 伸弥**  
(京都大学iPS細胞研究所)

人工多能性幹細胞(induced pluripotent stem cell: iPS細胞)は、線維芽細胞に*Oct3/4*, *Sox2*, *Klf4*, *c-Myc*という4つの遺伝子を導入することにより樹立された。iPS細胞は、自己増殖能と多分化能を有し、遺伝的背景の明らかな個人から樹立が可能であるため、細胞移植治療や、病態解明、創薬応用などへの貢献が期待されている。

我々は、iPS細胞の医療応用に向け、世界標準となりうるiPS細胞基盤技術の確立を目指して、エピソードマーカーを用いた、より安全性の高い樹立方法を確立し、またフィーダー細胞や異種生物由来の成分・材料の利用を避けた培養基材や培地の開発を行った。

2014年には理化学研究所の高橋政代博士らのグループにより、加齢黄斑変性の患者に自身のiPS細胞から作った網膜色素上皮細胞のシートを移植する、世界初のiPS細胞を使った臨床研究が開始された。我々は、臨床用に品質の保証されたiPS細胞を迅速に提供できるよう、免疫拒絶反応を起こしにくいiPS細胞株を予め樹立・保存する、再生医療用iPS細胞ストックプロジェクトを進めており、2015年8月には、医療機関や企業への細胞の配布を開始した。2017年3月には、このストックを用いた加齢黄斑変性の患者さんに対する他家移植が実施された。

また、患者から樹立した疾患特異的iPS細胞を用いて病態モデルを構築することにより、筋萎縮性側索硬化症や軟骨無形成症、進行性骨化性繊維異形成症など難病に対する効果的な創薬スクリーニングが行われ、治療薬のリードとなる発見も報告されている。病態を事前に把握し適切な治療を提供する「個別化医療」、「先制医療」、既存医薬品のドラッグ・リポジショニングなど、臨床戦略や創薬研究においてもiPS細胞技術の医療応用が期待できる。

ヒトiPS細胞の発見から10年が経った。患者さんに1日も早く革新的治療オプションを提供するため、iPS細胞研究をさらに発展させたい。

### 略歴

京都大学iPS細胞研究所長・教授。米国グラッドストーン研究所上席研究員兼務。医学博士。1987年神戸大学医学部卒業、1993年大阪市立大学大学院医学研究科修了、1993年米国グラッドストーン研究所留学、1996年大阪市立大学医学部薬理学教室助手、1999年奈良先端科学技術大学院大学遺伝子教育センター助教授、2003年同教授。2004年京都大学再生医科学研究所教授、2007年同物質・細胞統合システム拠点教授、2010年4月より現職。主な受賞歴にラスカー賞(2009年)、恩賜賞・日本学士院賞(2010年)、京都賞(2010年)、ウルフ賞(2011年)、文化勲章(2012年)、ノーベル生理学・医学賞(2012年)など