

疾患由来 iPS 細胞資源バンク

難治性疾患(難病)からの iPS 細胞の樹立とそれを利用した難病研究

担当 江良 択実

概要

発生医学研究所では平成 21 年度から幹細胞誘導分野の江良 択実 教授が中心となって、難治性疾患からの疾患由来の人工多能性幹細胞（iPS 細胞）の作製とそれを利用した難病研究を行っている。

難治性疾患（難病）は、その多くに遺伝性の疾患が含まれ発生医学の研究が原因解明、治療方法の開発に大きく役立つ。しかしこれまでは、発生医学の研究成果を生かそうとしても、難病は患者数が限られるために生体試料（細胞、血液や DNA 等）が非常に少なく、このことが研究を行う上で大きな障害となっていた。この問題点を疾患由来の iPS 細胞を作ることで解決し、難病研究を進めている。

● 外来因子フリー難治性疾患由来 iPS 細胞の委託作製とそのバンク化の研究

- 1) 疾患由来 iPS 細胞を医師の代わりに作成し、提供することで研究に役立てる。
- 2) 患者様と依頼医師の同意が得られたならば iPS 細胞バンクへ協力していただき研究の発展を促す。

この研究は一言でいうと厚生労働省のサポートのもと臨床医師の方々が患者様より iPS 細胞を樹立する（研究のため、あるいは貴重な症例を保存するため等）時に、先生方のかわりに無料にて iPS 細胞を作り、ご依頼があった先生方にお返しするという内容である。その際に患者様、依頼者の同意が得られたら、作製した iPS 細胞を将来の iPS 細胞のバンク化にご協力していただくことをお願いしている。iPS 作製にはいろいろな方法があるが、センダイウイルスで作製する方法にて行っている。この方法は初期化因子が、染色体内に残らないので、疾患研究には現時点では最善の方法の 1 つである。事業は、厚生労働省難治性疾患克服研究事業の難治性疾患研究班の先生方とも連携して行っている。

● 作製した iPS 細胞を用いての難病の原因解明や新しい治療法・治療薬の開発

人工多能性幹細胞（iPS 細胞）は、皮膚や血液から作製できるので、一部の例外を除き、ほとんどの病気から作製することができる。iPS 紹介はその分化の多能性から、病気の標的細胞を誘導し、発症機序や治療法の開発へ利用できると期待されている細胞である。また、試験管内で分化能を維持したままで増幅でき、長期保存も可能である。したがって、患者数が限られるような難治性疾患からの研究にすぐれた効果を發揮すると考えられる。発生医学研究所では、従来より、発生医学研究の 1 つのすぐれたツールとして胚性幹細胞（ES 細胞）の分化を誘導しての研究が行われて

いる。iPS 紹介はこの ES 紹介に極めて似た特徴をもつ細胞である。したがって、ES 紹介の研究から得られた成果は比較的容易に iPS 紹介研究に利用することができる。他の発生医学研究から得られた成果も合わせて利用して、疾患由来 iPS 紹介を病気の標的細胞へ分化させて研究を行っている。

難治性疾患由来 iPS 紹介の委託作製とそのバンク化

