

## CS03-1 製薬企業としてのiPS細胞研究

○中西 淳<sup>1</sup>

<sup>1</sup>武田薬品工業医薬研究本部開拓研

様々な組織に分化できる多能性幹細胞は創薬研究を加速するツールとして注目を集めている。中でもiPS細胞は倫理的な問題が少なく、患者組織からも作製できることから大きな期待が寄せられている。ヒトiPS細胞から分化誘導したヒト組織細胞は薬効評価や毒性評価への活用が検討されている。通常では入手が困難なヒト神経細胞、心筋細胞、膵β細胞などが一定の品質で制限なく入手できれば、ヒトへの外挿性が高まり創薬の効率化、成功確立の向上に寄与する。iPS細胞が創薬の現場で広範に利用されるには、iPS細胞の標準化、分化誘導法の確立、分化細胞の選別と性状検証などの基盤的研究に加えて、細胞供給、培養関連機器・材料などの周辺技術の進歩も重要な課題となる。一方、患者から作製された疾患特異的iPS細胞は、疾患メカニズムの解析および新規創薬ターゲット獲得に活用できる可能性が大きく、これまで有効な治療法や薬剤が開発されていない難治性疾患に対する新たなアプローチ方法を提供するという点で画期的である。すでに、遺伝性疾患を中心に相当数の疾患特異的iPS細胞が作製され、病態フェノタイプを再現する細胞モデルの構築を目指して研究が始まっている。現状では、疾患特異的iPS細胞を用いて病態フェノタイプの再現に成功した例は、脊髄性筋萎縮症や家族性自律神経失調症など疾患発症に対する遺伝的要因の寄与が高い一部の疾患に限られており、より広い疾患へ応用するためには環境因子や加齢要因などの研究が必須である。本シンポジウムでは、以上のようなiPS細胞を用いた創薬研究に関する内外の最新の取組みを紹介するとともに、解決すべき課題についても議論する。