

「未来創薬への誘い」第46回会合  
『幹細胞を用いた  
神経疾患研究』

講師：井上 治久（いのうえ はるひさ）

京都大学 iPS 細胞研究所 教授

理化学研究所 バイオリソース研究センター iPS 創薬基盤開発チーム チームリーダー

理化学研究所 革新知能統合研究センター 客員主管研究員

日時：2019年4月11日（木） 18:00～20:30

場所：千里ライフサイエンスセンタービル

講演会 5階 サイエンスホール（18:00～19:30）

懇親会 6階 千里ルーム A 室（19:30～20:30）

講演・懇親会ともに参加費無料

コーディネーター：中川 晋作（大阪大学大学院薬学研究科 教授）

小比賀 聡（大阪大学大学院薬学研究科 教授）

主催：公益財団法人 千里ライフサイエンス振興財団

〒560-0082 大阪府豊中市新千里東町1丁目4番2号

千里ライフサイエンスセンタービル20階

E-mail: [sng-2019@senri-life.or.jp](mailto:sng-2019@senri-life.or.jp) Tel: 06-6873-2001

<http://www.senri-life.or.jp>

## 【要 旨】

iPS 細胞技術は 10 年以上前に誕生し、それとともに、幹細胞を用いた医学研究は飛躍的に進歩を遂げて参りました。体内の様々な細胞になる、無限に増える、どんな人からも作製できることが iPS 細胞の特徴です。中でも、中枢神経系の細胞は、基本的にはバイオプシーで取り出すことができませんので、ヒト iPS 細胞から作製した生きている神経系の細胞は、過去には入手出来ませんでした。現在、ヒト iPS 細胞から作製した神経系の細胞は、細胞移植のためのリソース、病態解明のための疾患モデルなどの用途に用いられています。創薬研究においても、現在すでに iPS 細胞を用いたスクリーニングに由来する新薬候補のいくつかについては臨床試験がなされています。さらには、新たなテクノロジーとの融合により、iPS 細胞を用いた研究から、多くの情報がもたらされています。一方で、まだ多くの神経疾患、特に希少難病において、iPS 細胞を用いた疾患モデル化および創薬研究は十分には実施されていません。

本会合では、神経疾患の iPS 細胞を用いた創薬研究に関するこれまでの進捗とハードルを議論し、この分野における課題と新たな機会について考察いたします。

## 【参考文献】

1. iPSC-based compound screening and in vitro trials identify a synergistic anti-amyloid  $\beta$  combination for Alzheimer's disease. Kondo T. et al., **Cell Reports** 21(8): 2304-2312, 2017.
2. The Src/c-Abl pathway is a potential therapeutic target in amyotrophic lateral sclerosis. Imamura K. et al., **Science Translational Medicine** 9(341) aaf3962, 2017.
3. Induced pluripotent stem cell technology: a decade of progress. Shi Y. et al., **Nature Reviews Drug Discovery** 16:115-130, 2016.
4. Calcium dysregulation contributes to neurodegeneration in FTL D patient iPSC-derived neurons. Imamura K. et al., **Scientific Reports** 6:34904, 2016.
5. Focal transplantation of human iPSC-derived glial-rich neural progenitors improves lifespan of ALS mice. Kondo T. et al., **Stem Cell Reports** 3:1–8, 2014.
6. iPS cells: A game changer for future medicine. Inoue H. et al., **The EMBO Journal** 33(5):409-417, 2014.
7. Modeling Alzheimer's Disease with iPSCs Reveals Stress Phenotypes Associated with Intracellular A $\beta$  and Differential Drug Responsiveness. Kondo T. et al., **Cell Stem Cell** 12(4): 487-496, 2013.
8. Drug Screening for ALS Using Patient-Specific Induced Pluripotent Stem Cells. Egawa N. et al., **Science Translational Medicine** 4(145):145ra104, 2012.
9. Anti-A $\beta$  drug screening platform using human iPS cell-derived neurons for the treatment of Alzheimer's disease. Yahata N. et al., **PLoS ONE** 6(9): e25788, 2011.
10. The Use of Induced Pluripotent Stem Cells in Drug Development. Inoue H. et al., **Clinical Pharmacology & Therapeutics** 89(5): 655-66, 2011.

## 【講師略歴】

- 1992年 京都大学医学部卒業 同大附属病院神経内科
- 1993年 財団法人住友病院神経内科
- 1997年 国立精神・神経センター神経研究所  
ハンガリーペイチ医科大学
- 1999年 理化学研究所脳科学総合研究センター
- 2004年 ハーバード大学医学部マククリーン病院
- 2005年 京都大学大学院医学研究科助手
- 2009年 京都大学 iPS 細胞研究センター特定拠点准教授  
CREST 研究代表  
「人工多能性幹細胞(iPS細胞)作製・制御等の医療基盤技術」領域  
研究課題「iPS細胞を駆使した神経変性疾患病因機構の解明と個別化予防  
医療開発」
- 2010年 京都大学 iPS 細胞研究所准教授
- 2014年 京都大学 iPS 細胞研究所教授  
AMED 疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究プロジェクト拠点長  
研究課題「高品質な分化細胞・組織を用いた神経系および視覚系難病の  
*in vitro* モデル化と治療法の開発」  
読売ゴールドメダル受賞(iPS細胞の神経難病医学への応用)
- 2017年 理化学研究所バイオリソース研究センター(BRC)  
iPS 創薬基盤開発チーム チームリーダー(併任)  
理化学研究所革新知能統合研究センター(AIP)  
iPS 細胞連携医学的リスク回避チーム 客員主管研究員(併任)

☆ 著作権法に基づき、講演の映像・音声、ならびに講演要旨は、ブログ・SNS への掲載等へ、複製または転用するなど、二次利用することを禁じます。