

プロジェクト代表者	朝日通雄③(薬理学・教授)
共同研究課題名	iPS 細胞を用いた難治性疾患の病態解明と新規治療薬の開発
目的	医学の進歩で克服できた疾患が数多くある中で、未だ治療法の確立されていない難病も数多く存在している。iPS 細胞が発見されて以来、網膜色素変性症やパーキンソン病などへの再生医療に応用されつつある。最近、創薬研究にも利用され、成果が期待されている。本研究では厚労省が指定するいくつかの指定難病に注目し、それらの病態の解明と新規治療薬の開発を目的とする。
内容	<p>以下に挙げる指定難病の原因となっている遺伝子をゲノム編集技術である clustered regularly interspaced short palindromic repeats interference (CRISPRi) を用いて発現を低下させた iPS 細胞を用いて、各責任細胞に分化させ、病態モデルを作製する。また、難病患者由来 iPS 細胞からの病態モデルも並行して作製する。それらのモデルを用いて詳細な病態解析を行い、新規治療薬の開発を目指す。</p> <ol style="list-style-type: none"> 1、ファブリー病 2、炎症性腸疾患（潰瘍性大腸炎、クローン病）、単一遺伝子腸疾患 3、コケイン症候群 4、ファブリー病以外のライソゾーム病（ハンター病など）
学内共同研究者	<p>樋口和秀(内科学Ⅱ)</p> <p>友田紀一郎(薬理学・講師)</p> <p>森原啓文(薬理学・助教)</p>
学外共同研究者	森本 積 (奈良先端科学技術大学院大学・准教授)
研究費	2,000,000 円