

京都大学iPS細胞研究所

CiRA Newsletter

2018年10月号
Vol.

35



Postdoctoral Researcher

CiRAで研究する人

Contents



スモール・サイエンス・トーク

幹細胞の力ー医療を支える「幹」になれるか 03

特集

iPS細胞ストックを用いた治験開始

パーキンソン病の治験が始まりました 04

「再生医療用iPS細胞ストック」を多くの人に 06

臨床研究

血小板を作るプロジェクトが臨床研究へ 08

研究成果

顔面肩甲骨型筋ジストロフィーを進行させる要因の一つを解明 10

イベント活動報告 12

CiRAで研究する人

「再生医療」と「リハビリテーション」で筋ジストロフィーに挑む 16

CiRAで研究支援する人

顕微鏡を極める 17

倫理の窓から見たiPS細胞

治験の晴れやかさとシビアさ 18

基金事務局だより

関西電力によるポイント寄付が始まっています! 19

Editorial info

発行・編集

京都大学iPS細胞研究所(CiRA) 国際広報室
〒606-8507 京都市左京区聖護院川原町53

Tel: (075)366-7005

Fax: (075)366-7185

Email: ips-contact@cira.kyoto-u.ac.jp

Web: www.cira.kyoto-u.ac.jp

イラスト・レイアウト

CiRA国際広報室
大内田 美沙紀・戸谷 匡哉

協力

CiRA上廣倫理研究部門

写真

CiRA国際広報室

印刷

株式会社北斗プリント社

本誌の記事・写真・イラストの転載を禁じます。
Printed in Japan

幹細胞の力 —医療を支える「幹」になれるか

想像してみてください。私たちが何気なく暮らしている間、体の中で細胞は絶えず新しく作られ、寿命を迎え、また新しい細胞が作られています。このサイクルを支えるのが、体性幹細胞です。

寿命が尽きた細胞が体内でうまく補充されるには、いろいろな細胞に変化でき、なおかつ自分自身もなくなってしまうまいや、自分のコピーを作る能力をもつ細胞（幹細胞）が必要です。体性幹細胞は体の中にある幹細胞で、いくつか種類があります。体性幹細胞が何の細胞に変化できるかは、種類ごとにある程度決まっています。例えば、造血幹細胞は赤血球や白血球など血液の細胞に変化します。

体性幹細胞の能力を発見した研究者たちは、この能力を医療に応用することを思いつきました。ケガや病気で細胞の機能が損なわれてしまったところに、体性幹細胞そのものや、体性幹細胞から作った細胞を移植して治療ができるのではないか？もし体性幹細胞より幅広い種

類の細胞に変化できる幹細胞があったら、治療の可能性が広がるのではないかと？

このような発想のもと、ES細胞やiPS細胞など、人工的に作られた幹細胞が注目されるようになりました。ES細胞は、受精卵から少し成長の進んだ状態の胚から細胞を取り出して作ったものです。胚はこれから人間の体全体を作っていくことになる細胞ですから、体を構成するすべての細胞に変化する能力があります。

そして、ES細胞の後に開発されたのがiPS細胞。胚ではなく、皮ふや血液など、体の細胞から作られる幹細胞です。ES細胞と同じように、あらゆる細胞に変化する能力があります。

ES細胞、iPS細胞は変化できる細胞の種類が体性幹細胞に比べて多いという特徴がありますが、まだまだ発展途上の技術であり、研究では使われているものの、実際の治療で使われた例はありません。一方、体性幹細胞は変化できる細

胞の種類が限られています。人間がもともと持っている細胞であり、日本では少数ですがすでに治療として認められているものもあります。

幹細胞と一口に言ってもいろいろな種類があり、それぞれの特徴を生かして臨床応用に向けた研究が進んでいます。現在の医療はさまざまな技術によって支えられていますが、幹細胞がこれからの医療を支える「幹」のひとつになれるかどうか。今後の研究の展開を見守っていきたいと思います。

(文・佐々木あやか)





iPS細胞ストックを用いた治験開始

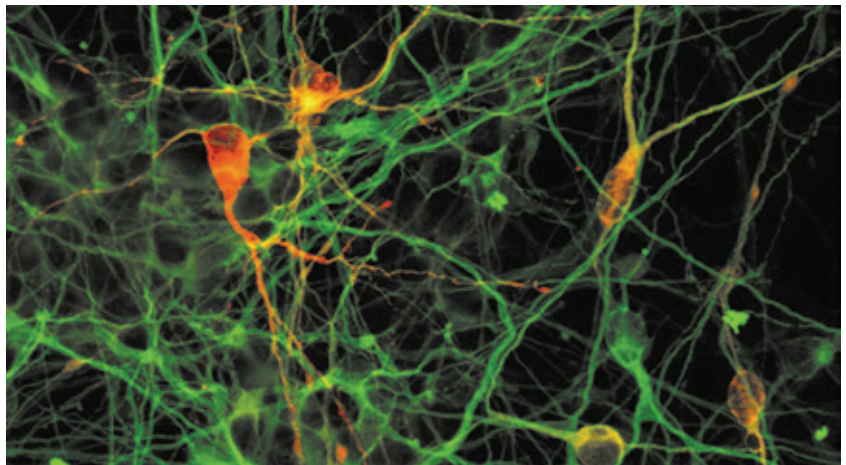
パーキンソン病の治験が始まりました

8月1日に京都大学医学部附属病院が、CiRAの研究成果を基に、iPS細胞技術を用いたパーキンソン病治療を目指した治験を開始しました。今回の治験では、CiRAの「再生医療用iPS細胞ストック」を用います。

パーキンソン病とは？

1980年代の映画『Back to the Future』の主演を務めたマイケル・J・フォックス氏が患っていることで、ご存知の方もいるかもしれません。この病気のカギは、脳の黒質という場所にある神経細胞の一種、ドパミン神経細胞。この神経細胞の中では、体を動かすための情報（信号）を神経細胞から別の神経細胞に伝えるドパミンという物質が作られますが、パーキンソン病では、ドパミン神経細胞が失われていくことでドパミンが作られなくなり、信号が伝わりにくくなっていきます。

そして、ドパミン神経細胞が正常の20～30%まで減ると、体の震えや筋肉のこわばり、動作が緩慢になるといった症状が現れます。50歳以降に発症する 경우가多く、1000人に1～1.5人の割合で患者さんがいると言われています。



ヒトiPS細胞から誘導したドパミン神経細胞

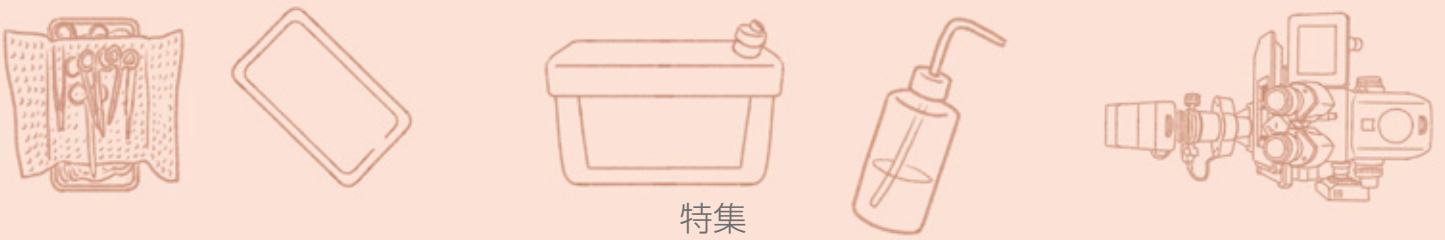
現在の治療

現在の治療法には投薬と外科手術がありますが、いずれも症状を一時的に緩和する対症療法で、根本的な治療法はまだありません。

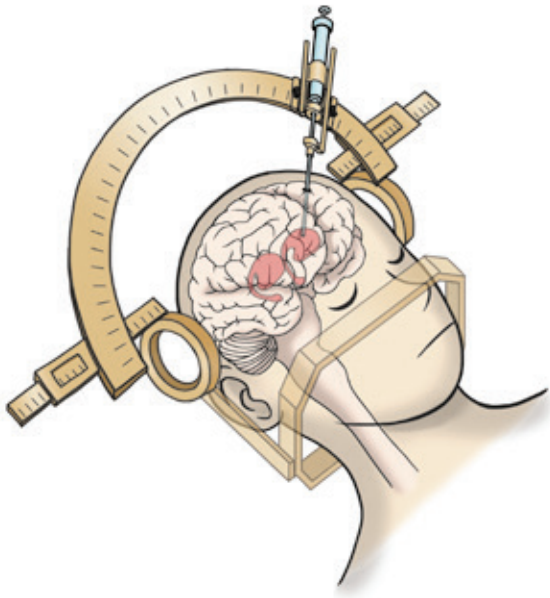
投薬治療は、ドパミンをつくる材料となるL-ドパという薬を飲み、脳内のドパミン神経細胞内でドパミンを作らせるというものです。しかし、パーキンソン病ではドパミン神経細胞そのものが減っていくため、ドパミンが作られにくくなり、次第に薬

の効く時間が短くなっていきます。一方で、L-ドパを過剰に飲むと手足や口が勝手に動いてしまう副作用が出てきてしまいます。

投薬治療の他に、外科手術により脳内に電極を埋め込み、電気刺激により体の動きを促す脳深部刺激療法（DBS手術）もありますが、薬と同じく、徐々に効果は薄れていきます。



特集



ドーパミン神経細胞を移植する手術のイメージ
頭部を固定したうえで頭蓋骨に直径12mmの穴
を開け、注射針のような器具で細胞を注入する。



記者の質問に答える(左から)高橋淳 教授、
稲垣暢也 京都大学医学部附属病院院長、高橋良輔 同脳神経内科長

iPS 細胞を使った治験

CiRAの高橋淳教授らのチームは、iPS 細胞を使ってパーキンソン病の新たな治療法を開発すべく研究を行ってきました。これまで蓄積してきた研究の成果を人に応用するための最初のステップとして、この度治験が開始されることとなりました。なお、CiRAは医療機関ではないため、移植手術などの医療行為ができません。そのため、今回は京都大学医学部附属病院が主体となり治験が行われます。

治験では、iPS 細胞から作製した約 500 万個のドーパミン神経細胞を、

患者さんの大脳の一部である線条体被殻部分（左右両側）に移植します。ドーパミン神経細胞を作製するもととなる iPS 細胞は、CiRA が進めている「再生医療用 iPS 細胞ストックプロジェクト」において製造された、高品質の医療用 iPS 細胞を用います。なお、この iPS 細胞は患者さんご自身から作られた iPS 細胞ではないため、細胞移植後に患者さんの体内で拒絶反応が起こる可能性があります。そのため今回の治験では、既に臓器移植などで用いられている免疫抑制剤を用います。

移植後はそれぞれの患者さんに

つき 2 年間の観察期間を設け、細胞移植や免疫抑制剤の使用の安全性や有効性を検討します。

今回は 7 人の患者さんに対して治験を行い、まずは安全かつ有効な治療法となり得るかどうかを慎重に検証します。将来的には多くの患者さんに「使える」医療として届けられるよう、今後の研究を見守っていきたいと思います。

(文・中内彩香)



Feature

iPS細胞ストックを用いた治験開始

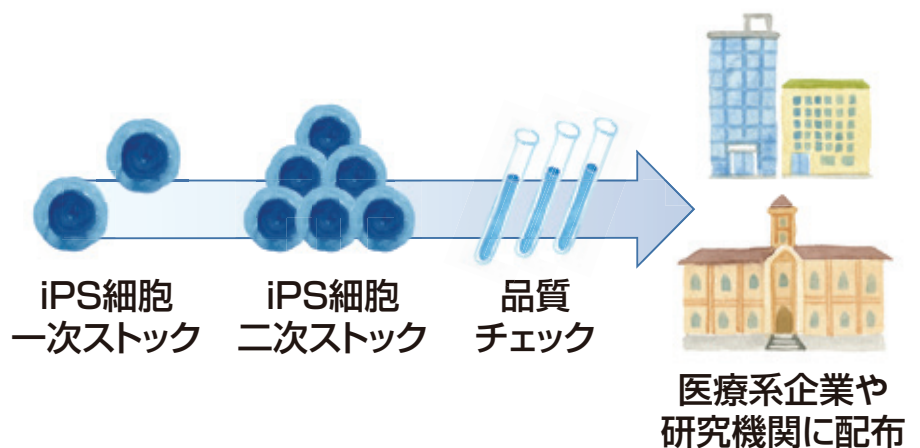
「再生医療用iPS細胞ストック」を 多くの人に

8月1日より開始されたパーキンソン病に対する治験では、「再生医療用 iPS 細胞ストックプロジェクト」で製造された iPS 細胞が用いられます。ここでは、「再生医療用 iPS 細胞ストック」の流れや今後の展望をご紹介します。

「再生医療用 iPS 細胞ストック」とは

iPS 細胞技術の大きなメリットの一つに、私たち一人ひとりの細胞（たとえば、病院で採った血液中の細胞）から作られるという特徴があります。患者さんの細胞から iPS 細胞を作り、さらに必要な体の細胞に変化させて体内に移植する場合、もともとの材料は自分の細胞なので、拒絶反応は起きないと考えられます。この方法が患者さんにとって理想的なのですが、まだ今の段階では、iPS 細胞の作製やその品質評価に長い時間と莫大な費用がかかります。

そこで CiRA では、多くの方に拒絶反応を起こしにくい、特別な細胞のタイプをもっている健康なボランティアから血液をご提供いただき、その方の血液の細胞から、医療用の高品質な iPS 細胞を予め製造・ストックし、多くの患者さんに使える iPS 細胞を準備する「再生医療



用 iPS 細胞ストック」（以下、「iPS 細胞ストック」）を構築しています。

一種類の iPS 細胞を作るのに相当な時間と費用がかかりますが、iPS 細胞はたくさん増やせるため、多くの人に使われると、一人当たりにかかる時間と費用が低く抑えられるというアイデアです。iPS 細胞ストックは、再生医療研究において必要としている研究・医療機関に配布されます。

「iPS 細胞ストック」の流れ

iPS 細胞ストックは、CiRA 内の専用施設「細胞調製施設 (FiT)」で製造されています。FiT ではまず血液の細胞から約 1 ヶ月かけて iPS 細胞（一次ストック）を作った後、約 2 ヶ月かけて一次ストックの iPS 細胞を増やします（二次ストック）。

製造の後は、細胞内の遺伝子にがんのリスクとなるような傷（変異）ができていないか、微生物に感染していないか、あらゆる細胞になる



特集



2015年8月、iPS細胞ストック初出荷に関わったCiRAメンバー

能力があるかなどさまざまな品質評価を行い、製造された iPS 細胞が医療用として使える高品質なものかどうかを精査します。そうして太鼓判の押された iPS 細胞の二次ストックが各機関に配布され、一次ストックは枯渇しないよう CiRA で保管されます。

医療用の iPS 細胞を提供できるようになるまでに、様々な紆余曲折がありました。ヒト iPS 細胞が初めて誕生したのが 2007 年と、非常に新しい技術であるため、iPS 細胞の特性の深い理解や安全性を高める技術開発が必要だったのです。

また、研究用の細胞と医療用の細胞では求められる培養方法や手技なども異なります。専門家への相談や様々な実践を経て、2015 年 8 月に初めての iPS 細胞ストックを出荷した際のスタッフの感慨はひとしおでした。

「iPS 細胞ストック」のこれから

2013 年度にスタートした iPS 細胞ストックも、今年で 6 年目を迎えました。今では約 70 名もの大所帯で iPS 細胞ストックを支えています。その成果により、2018 年 9 月末までに、日本人全体の約 32% の人に移植しても拒絶反応を起こしにくい iPS 細胞（計 5 種類）を製造し、12 機関に配布しています。

また、iPS 細胞ストックは実際に人に使われ始めています。2017 年には、理化学研究所・高橋政代チームリーダーらによる加齢黄斑変性に対する臨床研究で、初めて iPS 細胞ストック由来の細胞が患者さんに移植されました。

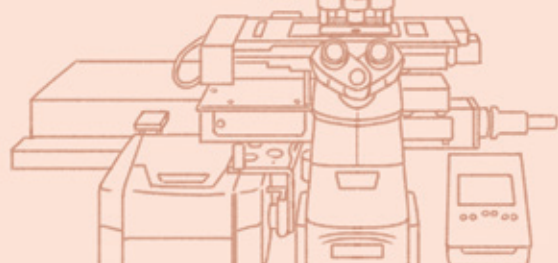
前頁でご紹介したように、パーキンソン病の治験でも iPS 細胞ストックが、移植するドパミン神経細胞の材料として使われます。さらに今後複数の臨床研究などで iPS 細胞ス

トックが使われる予定です。

iPS 細胞ストックは患者さん由来の細胞ではないため、拒絶反応のリスクがゼロになるということはありません。しかし iPS 細胞ストックを用いることで、患者さんに投与する免疫抑制剤の量を減らし、患者さんの感染症に対する抵抗力をある程度維持しながら生活の質を高めることができるのではと期待されています。

今後も引き続き iPS 細胞ストックの製造を続け、2020 年までに日本人の半分をカバーできる iPS 細胞ストックを構築する計画です。同時に、このプロジェクトを通して iPS 細胞製造のノウハウや技術を洗練し、将来的には「本人由来の iPS 細胞利用」の実現に貢献したいと考えています。

(文・中内彩香)

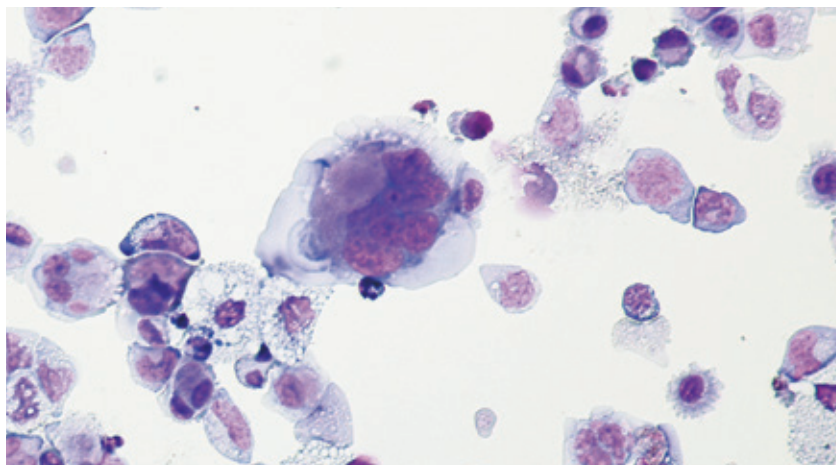


血小板を作るプロジェクトが 臨床研究へ

9月21日にiPS細胞から血液の成分の一種である血小板を作って移植する臨床研究が厚生労働省に了承されました。本研究では、CiRAにて作製した患者さん由来のiPS細胞から作製した血小板を使って、京都大学医学部附属病院が移植を行います。

私たちの体は数十兆個もの細胞が集まってできています。その細胞に酸素や栄養を送り届けるために血液が体中を循環しています。この血液の中にも様々な細胞が存在し、例えば、酸素を運ぶ赤血球や外敵と戦う白血球などそれぞれ役割があります。血小板はそうした血液中の細胞の一つで、出血をしたときに血を固めるなどの役割を持っています。

血小板はとても小さな細胞のかけらで、巨核球という細胞からちぎれるようにして作られます。体のなかでは巨核球1個から1000個以上もの血小板が作られると報告されています。血小板は通常、血液1ミリリットル中に1億4000万～3億4000万個くらいあります。



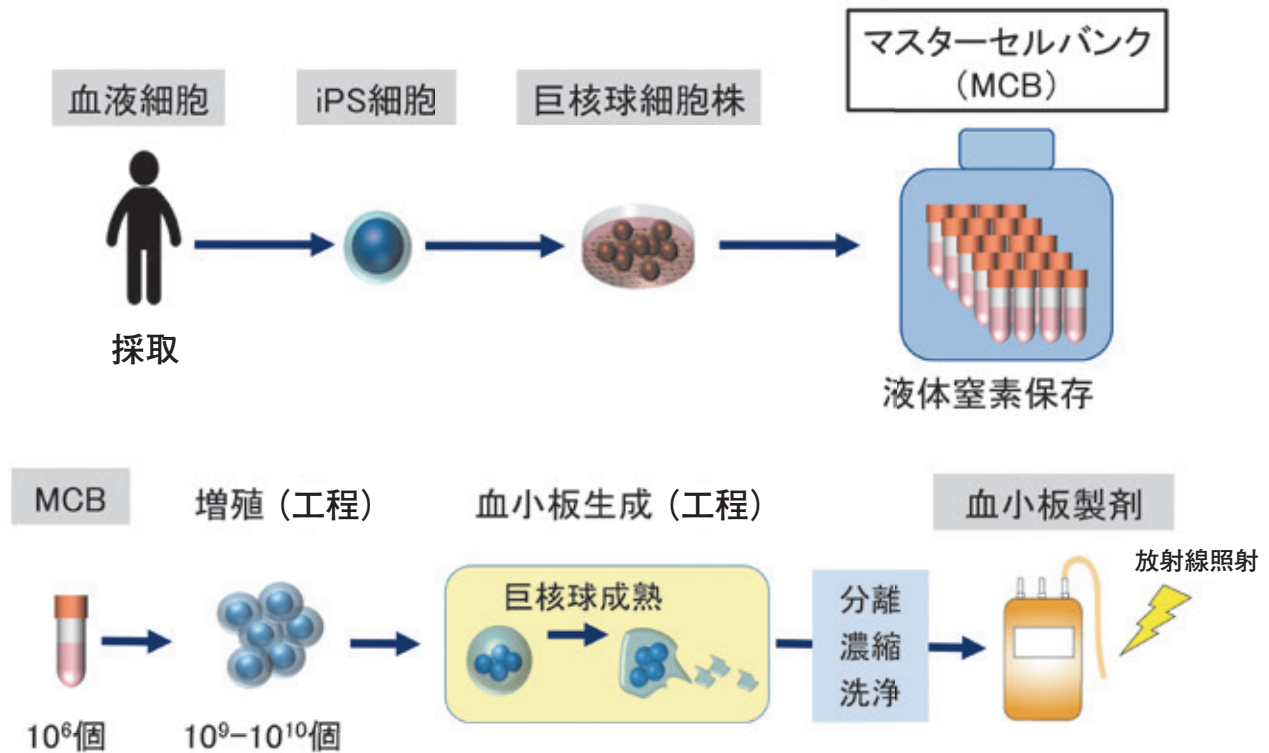
ヒトiPS細胞由来の巨核球

なんらかの理由で血小板の量が減ってしまい、血液中1ミリリットルあたり5000万個よりも少なくなってしまうと、十分な止血効果が得られなくなるため、血小板を輸血して補うことがあります。ここで補う血小板は、献血によって用意されています。多くの場合は他の人の血小板を輸血しても特に問題なく効果が得られますが、稀に血小板を輸血しても患者さんの体内で血小板の数が増えないことがあります。こうした症状を血小板輸血不応と言いま

す。

血小板輸血不応になる原因の一つに、輸血した血小板を異物と認識して、免疫細胞が破壊してしまうことがあります。こうした状況になると、いくら外から血小板を輸血しても効果が得られません。しかし、患者さん自身の細胞であれば異物と認識されず、効果が期待できます。

これまでは患者さん自身の細胞から大量の血小板を作ることは困難でした。CiRAの江藤浩之教授らのグループは、iPS細胞を使うことでそ



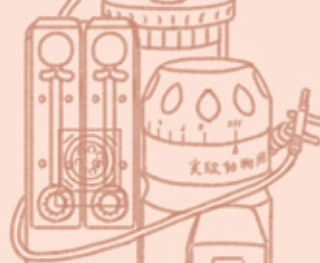
自家iPS細胞由来血小板の製造工程

れが可能となる方法を開発しました。まず、患者さんの血液からiPS細胞をつくり、そこから血小板のもととなる巨核球を作りました。この巨核球に特定の遺伝子を組み込みどんどん増殖するような性質をもたせました。どんどん増殖する能力を持った巨核球をマスターセルバンクとして保存しておき、必要なときにそのマスターセルバンクから血小板（血小板製剤）を作ります。こうすることで、早く大量に血小板をつくることができるようになりました。

今回の臨床研究ではこのようにiPS細胞ストックではなく、患者さん自身のiPS細胞を使って作られた血小板を輸血して、安全性を確認します。輸血を行うのは、血小板輸血不応症で、血小板が減少している方が対象です。まずは非常に少ない量から投与を開始し、安全性を確認しながら量を増やし、最終的には通常の輸血で使う量の半分程度まで増やす予定です。この臨床研究に協力していただく被験者の方は公募しません。

まだ現段階ではiPS細胞由来の血小板を治療に使うことはできませんし、この研究成果だけですぐに治療に使うことができるようになるわけでもありません。患者さん一人一人から巨核球を作るのには長い時間と費用が必要になります。長期的にはより多くの人に輸血ができるようにするために、iPS細胞ストックを使った方法も研究が進められています。

(文・和田濱裕之)



顔面肩甲上腕型筋ジストロフィーを進行させる要因の一つを解明

櫻井英俊准教授、本田充大学院生（臨床応用研究部門）らの研究グループは、顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー (FSHD) の患者さん由来の iPS 細胞を用いて、FSHD の症状を進行させる要因の一つを解明し、英国科学誌『ヒューマン・モレキュラー・ジェネティクス』で発表しました。この成果について、櫻井准教授に詳しくお話を聞きました。

Q. 筋ジストロフィーにもいろいろ種類があるのですか？

筋ジストロフィーとは、身体の筋肉が壊れたり、再生できなくなったりする遺伝性筋疾患の総称です。一口に筋ジストロフィーといっても、症状や発症する年齢、原因となる遺伝子の違いなどによって、たくさん種類があります。そのうちのひとつ、顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー (FSHD) では、まず顔面筋、肩や首の筋力が低下することで肩から上に手が挙げられないなどの症状が現れ、徐々に全身の筋力が低下してしまいます。

Q. FSHD になるしくみは分かっているのですか？

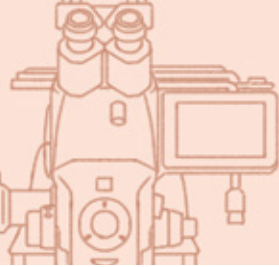
これまでの研究により、FSHD は、筋肉にとって重要なタンパク



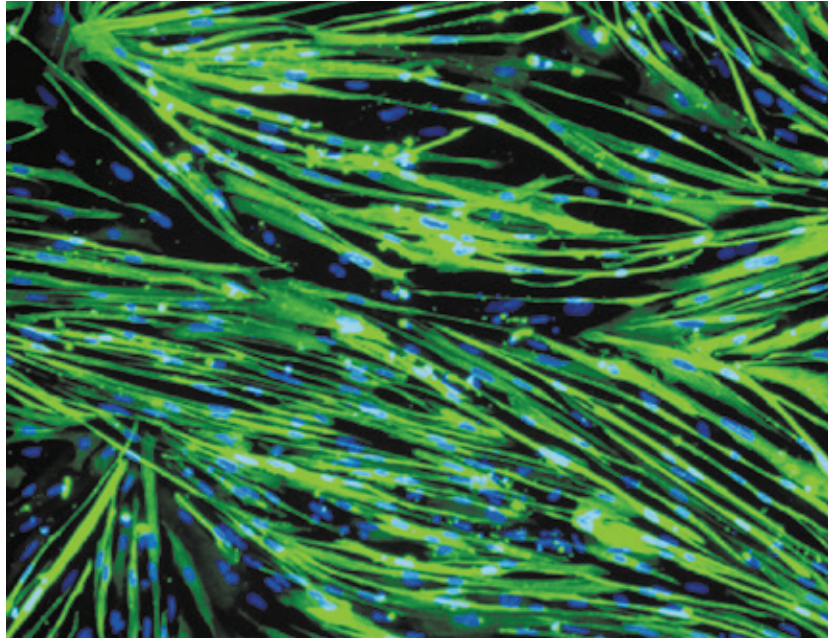
記者の質問に答える櫻井英俊准教授(左)と本田充大学院生

質の設計図となる遺伝子の配列が異常に短くなってしまうことが原因で起きることが分かっています。それにより設計図が誤って不要にコピーされ、DUX4 という異常なタンパク質が生じてしまいます。この DUX4 タンパク質が筋肉にとって毒となり、FSHD が発症

します。ただ、FSHD は他の型の筋ジストロフィーに比べ、身体の左右で症状に差が見られること、患者さんによって症状の進行具合にばらつきがあることから遺伝以外にも症状を促進する要因があると考えられています。



研究成果



FSHD患者さんから作製した骨格筋細胞。
緑色が筋線維、青色が細胞の核を示す。

Q. 今回の研究でどのようなことが分かったのですか？

今回、FSHDの患者さん由来のiPS細胞から骨格筋細胞を作り、それに酸化ストレスを加えてみました。すると、酸化ストレスが大きいほど、DUX4タンパク質が増えていることが分かりました。さらに、酸化ストレスを与えてからDUX4タンパク質が増えるまでの間に、DNAが損傷したときに出るシグナルが放出されており、さらにはそのシグナルがDUX4タンパク質増加を仲介していることをつきとめました。

これらの結果から、酸化ストレスによりDNAが傷つくと、DUX4タンパク質が増加することが明らか

かになりました。これは、FSHD患者さんにとって、活性酸素を産む生活習慣やDNAを損傷させ得るさまざまなストレスが発症のリスク要因となることを示唆しています。

【論文名】

A Patient-derived iPSC Model Revealed Oxidative Stress Increases Facioscapulohumeral Muscular Dystrophy-causative *DUX4*

【ジャーナル名】

Human Molecular Genetics

【著者名】

Mitsuru Sasaki-Honda*, Tatsuya Jonouchi, Meni Arai, Akitsu Hotta, Satomi Mitsuhashi, Ichizo Nishino, Ryoichi Matsuda, Hidetoshi Sakurai

*筆頭著者

Q. 今回の成果から今後どのようなことが期待できますか？

今回用いたFSHD患者さん由来のiPS細胞を細胞モデルとして使うことで、今後FSHDのさらなるしくみを調べるとともに、FSHDに対する新しい薬の開発にも貢献できると期待しています。

(文・大内田美沙紀)

小・中学生対象の イベントを開催しました

岩手・盛岡市でサイエンスイベント

8月6日（月）、秋を先取りしたような過ごしやすい気温の中、岩手県の盛岡市子ども科学館で、盛岡サイエンスグループ（盛岡市子ども科学館指定管理者）と共催でサイエンスイベント「つくって!遊んで! iPS細胞の秘密にせまる」を開催しました。CiRAが東北地方でイベントを開催するのは今回が初めてです。

本イベントでは、iPS細胞コリントゲームを作製するワークショップを行ったほか、盛岡市子ども科学館の常設展示の一角にブースを設け、iPS細胞の観察などを楽しんでいただきました。ワークショップには小学3年生から6年生までの40名の児童が参加し、「iPS細胞でどんな病気でも治せるのか」「iPS細胞はどうしていろいろな細胞になれ



コリントゲームを作る子どもたち

るのか」などの質問が積極的に寄せられました。

また、当日は盛岡市子ども科学館へ約400名の来館者があり、親子連れを含む多くの方がブースにもお立ち寄りくださいました。「今回

の展示で、iPS細胞がどのようなものなのか理解できた」という感想もいただきました。

（文・佐々木あやか）

東京・科博イベントとMIRAI SUMMER CAMP

8月に東京都内で小学生向けのワークショップを2回開催しました。

8月4日（土）、5日（日）は、国立科学博物館（上野）主催の

夏季イベント「サイエンススクエア」の一環として、ワークショップ「作ってまなぼう iPS細胞のふしぎ」を開催しました。小学3年生から6年生の子どもたち約60名

が参加しました。このワークショップでは、iPS細胞がいろいろな体の細胞に「変身」できる性質を遊びながら学べるコリントゲームを工作しました。また、ブースも出



活動報告①

展し、本物のヒト iPS 細胞や iPS 細胞からできた軟骨細胞などを見ていただきました。親子連れや海外からの来場者など2日間で約660名の方にお越しいただきました。

8月20日(月)、21日(火)には、六本木で、MIRAI SUMMER CAMP 2018(主催:森ビル株式会社)の一環として、ワークショップ「遊んで学ぼう! iPS 細胞」を実施しました。こちらには、小学3年生から6年生の子どもたち約90名が参加しました。

国際広報室のサイエンスコミュニケーターが「細胞とは何だろう」というお話をした後に、みんなで



小学生にお話をする入口翔一研究員

コリントゲームを作りました。工作の後には金子研究室の入口翔一研究員が、iPS 細胞をどのように医療に役立てようと研究している

のか、また、研究者は何をしているのか、どんな一日を過ごしているのかをお話しました。

(文・三宅陽子)

京都・中学生向け iPS 細胞講座

7月24日(火)、京都市教育委員会が主催する「未来のサイエンティスト養成事業」と大津市科学館が主催する「IF クラス」の夏期講座に CiRA も参加し、「iPS 細胞を研究してみよう!」と題した講座を開催しました。

約40名の中学生が CiRA 講堂に集まり、講師を務めた妻木範行教授が iPS 細胞の特徴や iPS 細胞を用いた軟骨の再生について紹介しました。その後、6つのグループに分かれ、iPS 細胞から作製した軟骨組織とネズミのひざ軟骨組織を染色し、顕微鏡でそれぞれの染まりぐあ

いを観察しました。参加者からは「将来、自分も iPS 細胞に関する研究ができればおもしろいと思った」「自分で染めた軟骨組織がきれいで感動

した」といった感想が寄せられました。

(文・三宅陽子)



仙波都志香技術員(右)の指導で実験する中学生



東京・神戸で一般の方対象のイベントを開催しました！

渋谷でトークイベント

9月10日（月）、一般社団法人 SNOWBANK と CiRA は、東京都の渋谷キャストにてトークイベント「再生医療を明日使いたい人に届けるために」を開催しました。このイベントは、iPS細胞を使った再生医療研究の現状について伝えるために開催され、10代～70代までの幅広い年齢層の23名の方にご来場いただきました。

はじめに、SNOWBANKの代表でありプロスノーボーダーでもある荒井 DAZE 善正さんが講演されました。荒井さんは、かつて骨髄移植によって慢性活動性 EB ウィルス感染症という難病から快復された経験から、骨髄バンク登録の重要性を語りました。現在、骨髄バンク登録者の高齢化が進んでいるため、特に若者に協力を求めていきたいと述べました。

次に、CiRA 副所長の高須直子教授（基盤技術研究部門）が、「再生医療用 iPS 細胞ストックプロジェクト」（6、7 ページ）の概要を説明しました。このプロジェクトでは、必要とする細胞を提供いただける方を見つけるために、骨髄バンクが重要

な役割を果たしているため、SNOWBANK とも協力して骨髄バンクへの登録を呼びかけたいと語りました。

その後、鈴木智之さん（株式会社三菱総合研究所主任研究員、株式会社 Moff 事業開発マネージャー）の進行のもと、荒井さん、高須教授および CiRA の和田濱裕之サイエンスコミュニケーターがパネルディスカッションを行いました。

会場からは治験や臨床研究につ

いての質問や、骨髄バンク登録をさらに普及させる取り組みについても意見が寄せられました。

参加者からは、「難しそうだと思っていたが、わかりやすい説明でよく理解できた」という感想をいただきました。また、患者さんと研究者の両方の視点から再生医療についてディスカッションすることができ、大変有意義なイベントになりました。

（文・佐々木あやか）



パネルディスカッションの様子



活動報告②

神戸で一般の方対象シンポジウムを開催しました

9月25日（火）、神戸市内にて神戸新聞情報文化懇話会とCiRAが、一般の方を対象としたシンポジウム「神戸から拓くiPS細胞の未来」を共催しました。

当日は心配されていた雨も降らず、過ごしやすい気温となりました。会場には、神戸新聞情報文化懇話会の会員や大学生、社会人の方々がお越しくださいました。

シンポジウムの冒頭では、神戸新聞社の高土薫 代表取締役社長が開会の挨拶をされ、iPS細胞に関する研究の進展に対する期待を述べられました。

続いて、CiRA所長の山中伸弥教授が、iPS細胞とは何か、どのような用途で使えるのかを説明しました。研究の目的は、現時点で治せない病気を治すことであり、iPS細胞を使って世界中の研究者が尽力していることを述べました。

山中教授に続いて、再生医療と創薬それぞれの分野の研究者が講演しました。理化学研究所の万代道子副プロジェクトリーダーは、iPS細胞から分化させた眼の細胞を患者さんに移植する再生医療によって、眼疾患を治療することを目指して研究を進めています。今回の講演では、加齢黄斑変性の臨床研究の概要や、網膜色素変性に関して現在行っている研究について説明しました。



パネルディスカッションに参加する講演者と手話通訳者(左)

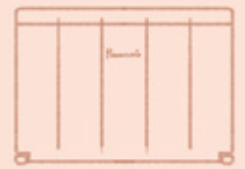
CiRAの池谷真准教授は、iPS細胞を使った創薬について解説しました。昨年からはFOP（進行性骨化性線維異形成症）の候補薬の治験が始まっていますが、治験に至るまでにどのように研究を進めてきたのかを説明し、同様の手法でいろいろな病気に対する創薬研究が行われていることを述べました。

最後に、講演者3名によるパネルディスカッションを行い、事前に参加者からいただいた質問に回答しました。研究に関する質問に加え、研究者として大切なことやワークラ

イフバランスについても質問がありました。

今回のシンポジウムでは、CiRAが出展したブースにも多くの方にお立ち寄りいただき、iPS細胞研究に対する関心の高さがうかがえました。iPS細胞を使った再生医療と創薬の両方の分野において、実際に研究を進めている研究者から話を聞いたことで、iPS細胞研究の現状についてよく理解できたという感想もいただきました。

(文・佐々木あやか)



「再生医療」と「リハビリテーション」で筋ジストロフィーに挑む

「再生医療」と「リハビリテーション」を組み合わせ、筋ジストロフィーを治療する方法を研究しています。筋ジストロフィーは、筋肉が衰弱することで体が動かしにくくなる遺伝性の難病です。

大学時代は理学療法を専攻し、リハビリテーションについて学びながら、ES細胞を用いて骨格筋外傷の治療法の研究も行っていました。学部4年生の時にiPS細胞の樹立成功のニュースを見て、iPS細胞を使って発展的な研究をし、難病に苦しむ患者さんを救いたいと考え、大学院に進学しました。

博士課程の時に参加した国際学会で櫻井英俊先生（10,11 ページ）と出会い、「骨格筋疾患に対する再生医療の臨床応用実現のために、移植治療による運動機能の改善を

目指した研究を是非進めてほしい」とのお話をいただきました。再生医療研究と理学療法の両方の知識が活かせると思い、CiRAの研究员になりました。現在は、iPS細胞から作製した健康な筋肉細胞を病気のマウスに移植し、その後適切な運動をさせることでより筋肉を回復させる研究をしています。

私は名古屋市在住で、毎日新幹線で京都まで通勤しています。4歳半の娘がおり、10月には2人目を出産予定です。夫と協力して家事と育児をしているので、仕事との両立は比較的問題なくできています。私が研究に集中できているのは、家庭、そして研究室での素晴らしいチームワークに支えられているからであり、周りの皆さんには本当に感謝しています。



竹中菜々さん
櫻井研究室 研究员

再生医療だけでは治せない病気を、リハビリテーションと組み合わせることで治せるよう、これからも研究に励んでいきたいです。

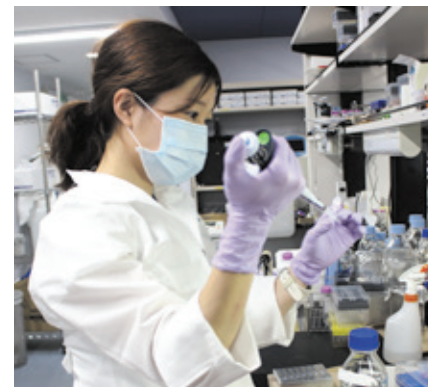
（文・三宅陽子）

竹中さんの一日

- 9:00 出勤、研究室ミーティング (写真①)
- 10:00 メール確認
- 11:00 実験 (写真②)
- 13:00 昼休み
- 14:00 実験
- 16:00 研究室メンバーとディスカッション
- 17:30 退勤
- 18:30 娘のお迎え



写真① 朝は研究室のミーティングから始まります



写真② 実験中です



CiRAで研究支援する人



Technical Staff

顕微鏡を極める

CiRAには研究者が共同で使用する機器がたくさんあります。それらの機器を管理する共通機器管理室で、顕微鏡に関するサポートを担当しています。主に私の仕事は3つあります。1つ目が顕微鏡の管理、2つ目が研究者に対して行う顕微鏡利用のトレーニング、そして3つ目は研究者に依頼されて顕微鏡で細胞などのサンプル（標本）の写真や動画を撮影することです。私が管理している顕微鏡は14台あり、すべて特徴が違います。それらの使い方を把握し、メンテナンスをしています。

顕微鏡できれいに撮影しようとすると時間がかかります。1種類のサンプルを撮影するのに1日かかることもあります。生きた動物の血流までも撮影できる二光子顕微鏡がありますが、これを使いこなすのに2カ

月の研修を受けました。普通の顕微鏡では可視光と呼ばれる普段私たちが目にしている光を使用し、1つのレーザーに対して特定の色の蛍光しか見ることができませんが、二光子顕微鏡では、近赤外光と呼ばれる人間の目では見ることのできない透過性の高い光を使用しています。そのため、1つのレーザーでさまざまな色の蛍光を同時に見ることができ、骨髄の中など奥深いところまで見ることができます。この操作を習得するのにとても苦労しました。

顕微鏡の詳しい操作を覚えるために、上司に質問したり、メーカーに問い合わせたりと必死でした。着任して2年後に、ようやく14台すべての顕微鏡の性能・使い方をマスターしました。今年で5年目ですが、サンプルをよりきれいに撮影す



木原駿介さん
共通機器管理室 技術員

る方法などを探求し、顕微鏡の奥深さが分かり、仕事がより面白くなってきています。目標は、CiRAの研究者に我々のサポートについてもっと知ってもらい、どんどん依頼をしてもらうことです。これからも顕微鏡を極めたいです。

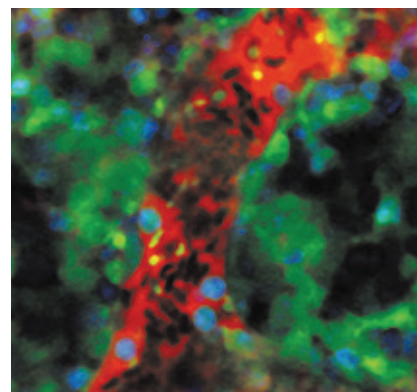
(文・三宅陽子)

木原さんの一日

- 9:00 出勤、メール確認、撮影オーダー確認
- 9:30 顕微鏡のメンテナンス (写真①)
- 10:30 打ち合わせ
- 12:00 昼休み
- 13:00 顕微鏡でサンプル撮影 (写真②)
- 16:00 顕微鏡のトレーニング講習
- 17:30 雑務、片付け
- 18:00 退勤



写真① 顕微鏡のメンテナンスは大切です



写真② 二光子顕微鏡で撮影したマウスの骨髄の中



治験の 晴れやかさとシビアさ



藤田 みさお 教授

今号では、CiRAの研究成果を基にして、京都大学医学部附属病院で始まったパーキンソン病の治験を特集しています。(4, 5ページ) ヒトのiPS細胞を目的の細胞に効率よく安全に分化させること等を目指す基礎研究に始まり、新しい治療法を開発して動物実験で何度も安全性や有効性を確認した後、初めて実際の患者さんを対象にして試す、というのが治験です(図)。そこで「治療として提供しても大丈夫だ」と科学的に証明できて、やっと患者さんに新しい治療を届けられるようになります。しかし、そこに至るまでの道のりは決して平坦なものではありません。

例えば、治験に参加したある患者さんの症状が、iPS細胞から作った細胞を移植された後で軽減したとします。その患者さんやご家族、もちろんCiRAのメンバー全員にとって、それは非常に喜ばしく嬉しいことです。ただ、その事実だけで開発中の治療法の成功が直ちに約束される訳ではありません。たまたま様々な条件が重なって、その方に

は効いただけかもしれないからです。偶然ではないことを科学的に証明するためには、何名もの患者さんに治験にご協力いただかなければなりません。

何名もの患者さんが治験に参加すれば、効果が見られなかったり、有害な症状が生じたりする方が出てくるかもしれません。もちろん、効果が見込まれるからこそ治験は実施され、有害な症状が出た場合に備えた体制も整えられています。ただ、人で初めて試す以上、何が起ころかは誰にも分かりません。そして、とても残念なことではありますがある患者さんにとって効果がなかったり、有害であったりしても、その事

実だけで開発中の治療法の失敗が直ちに決まる訳ではありません。偶然、その方にとって効かなかったり、有害だったりの場合、それとも治療法自体に原因があったのかを検証しながら、多くの場合、治験は慎重に続けられていきます。

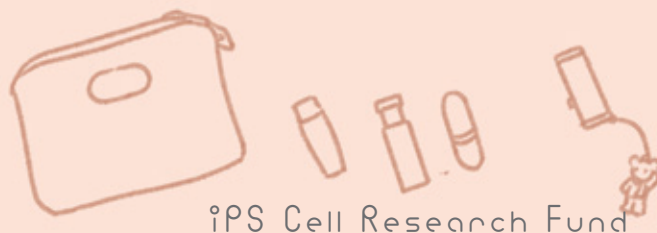
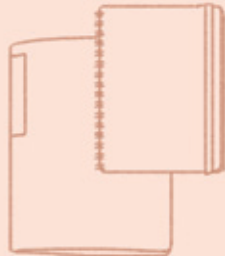
治験には、新しい治療の実現に向けた大きな前進という晴れやかな側面がある一方で、患者さんに負担をかけながら安全性や有効性を綿密に見極めていくというシビアな一面もあります。辛抱強く、一喜一憂することなく、見守っていただきたいと思えます。

(文・上廣倫理研究部門 藤田みさお)





基金事務局だより



iPS Cell Research Fund

関西電力によるポイント寄付が始まっています！

関西電力株式会社のご厚意により、昨年につき、iPS細胞研究基金が関西電力の「はぴeポイント みんなでわっしょい!プログラム」の応援プロジェクトの1つとして選ばれております。このプログラムは、関西電力と電気契約のある方に付与される「はぴeポイント」を応援したいプロジェクトに寄付すると、ポイント数に応じた金額が関

西電力からそのプロジェクトに寄付されるというものです。今年6月の募集開始から1300名以上の方々より、プログラム全体の目標ポイント数の3分の1がiPS細胞研究基金に寄せられています。ご支援くださいました皆様、誠にありがとうございました。

今回の募集期間中(2019年3月31日まで)に2000ポイント以

上をiPS細胞研究にご支援いただいた方の中から、抽選で21名様をCiRA研究棟見学会にご招待いたします。詳細は「みんなでわっしょい!プログラム」ウェブサイトでご確認ください。今後ともご支援のほど、よろしくお願いいたします。

(文・徳永愛子)

はぴeポイント みんなでわっしょい!プログラム

募集期間
平成30年6月1日 ~ 平成31年3月31日

**難病やケガで苦しむ人々を救いたい！
京大iPS細胞研究所に安定した研究支援体制を！**

Center for iPS Cell Research and Application
京都大学 iPS細胞研究所

京都大学iPS細胞研究所(CIRA=サイラ)では、iPS細胞(人口多能性肝細胞)技術を用いた再生医療と新しい薬の開発を目指し、難病やケガで苦しむ患者さんに一日でも早く届けられるよう、日夜研究に励んでいます。iPS細胞の医療応用を加速するために「iPS細胞研究基金」への寄付を募っております。みなさまの「はぴeポイント」でのご支援を宜しくお願いいたします。

現在の応援ポイント合計
550,894 ポイント

36%

目標ポイント数 1,500,000 ポイント

関西電力・はぴeポイント「みんなでわっしょい!プログラム」

<https://kepcoco.jp/wassyoipg>

その他のご寄付の方法はこちら

振込用紙お取り寄せ専用フリーダイヤル
ハシレ ヤマナカ シンヤ
0120-80-8748
(通話料無料・平日8時30分~17時)

インターネットによるご寄付の方法

ネット募金 iPS

検索

寄付ページにてお手続きができます。
※領収書は発行されません。



facebook.com/
CiRA.KyotoUniv
@CiRA_KU_J

www.cira.kyoto-u.ac.jp



Technician

CiRAで研究支援する人

Color
Couleur
Colon
Khiner
Fdhoo

Animal Laboratory of Companion

nippako foil

The gift will add more if you are ready for it.