

# iPS細胞がつくる新しい医学



**講師：山中 伸弥氏** (京都大学 iPS細胞研究所(CiRA) 所長・教授)

2006年に誕生したiPS細胞には、再生医療や創薬への応用に大きな期待が寄せられている。現在その研究はどこまで進み、どのような可能性を秘めているのか。iPS細胞の生みの親である山中伸弥氏が研究最前線の模様と、研究を巡る課題について語った。

## iPS細胞誕生への道のり

私が整形外科医のころ、脊髄損傷のように、現代医学では治せない患者を大勢診てきた。治すためには新しい治療法を開発するしかないとの思いから、私は大学院を修了後、さらにアメリカのグラッドストーン研究所に留学した。そこで、胚性幹細胞(ES細胞)に出会った。ES細胞は、無限に増殖し、あらゆる細胞をつくりだすことができる。ヒトES細胞の開発を知り、私は難治性のけがや病気の治療法を発見できるのではないかと、一気に期待を膨らませた。

1999年には、奈良先端科学技術大学院大学に助教授として着任が決まり、ヒトES細胞が抱える最大の問題点である受精卵を使うという倫理的な課題と、患者に移植した際に拒絶反応を起こすという課題の克服をビジョンとして掲げた。そこで、受精卵ではなく皮膚や血液の細胞をリセットして受精卵に近い状態に戻し、万能細胞をつくることを目標とした。

そして、研究室の主力となった三人の学生と共に、後に「山中因子」と呼ばれる細胞のリセットに必要な四つの遺伝子を発見した。2006年、マウスの皮膚細胞から万能細胞を樹立することを報告し、さらに翌年、ヒト細胞で

報告した。iPS細胞の誕生である。

iPS細胞は多種多様な細胞になる能力をもつ。この性質を活用すれば、再生医療と創薬に応用できると確信した。

## 再生医療と創薬に対する期待

iPS細胞による再生医療は日本がトップを走っている。その先駆けは高橋政代理化学研究所プロジェクト・リーダーによる眼の加齢黄斑変性症の再生医療だ。患者の皮膚細胞からiPS細胞を作製し、網膜色素上皮細胞としてシート状に成長させて移植した。高橋氏によると経過は順調という。

パーキンソン病はドーパミンを産出する神経細胞が機能しなくなり発症する病気だ。われわれの研究所(CiRA)の高橋淳教授が、iPS細胞からその神経細胞をつくることに成功した。今年中には臨床研究計画の申請を行いたいと考えている。

さらに、江藤浩之教授が、iPS細胞から赤血球や血小板をつくることに成功した。十年後には献血だけでは血液が不足するといわれている。iPS細胞由来の血液を輸血する方法を確立し、数年後には臨床研究を始めたいという。

創薬研究では、軟骨無形成症という背の伸びない病気の新薬開発を妻木範行教授が行っている。コレステロール値を下げる薬物として処方されること

の多いスタチンをiPS細胞に投与すると、軟骨細胞の細胞増殖と軟骨形成が回復することを発見した。

## 研究の進展・拡大には資金が不足している

研究には、研究者のほかに知財や広報、技術員など多くの専門家を必要とする。CiRAは国から年間約40億円(2013年度)の支援を受けているが、それでも研究者や研究支援者の安定雇用ができない。そこで私は所長として、ファンドレイジングにも力を入れている。有期雇用の職員の年間給与だけでも数億円掛かるため、iPS細胞研究基金をつくり、寄附をお願いしている。

CiRAは2010年に発足し、臨床試験の開始など十年間の達成目標を立てたが、この五年間で予想以上に研究が進んだ。iPS細胞のストック作製も順調で、基本特許も世界各国で成立するなど、当初のミッションは達成できるに違いない。次の目標である2030年へのビジョンとして、より一般的なiPS細胞を使った再生医療の普及、より多くの病気への拡充および難病治療薬の開発を目指している。そして体細胞からiPS細胞への初期化(リプログラミング)という現象を利用して、さまざまな生命現象の解明へと発展させていきたい。