

# 実用化に前進しているiPS細胞～創薬～

Point



iPS細胞を活用した  
創薬とは

創薬の可能性を広げる  
iPS創薬

治験開始の  
iPS創薬

iPS細胞(Induced Pluripotent Stem cells/人工多能性幹細胞)は、あらゆる細胞に変化できる細胞で、皮膚などの細胞に特定の遺伝子を組み入れて培養することで作られます。

## iPS細胞を活用した創薬とは

2012年に京都大学教授 山中伸弥氏はiPS細胞の発見・作製の功績でノーベル生理学・医学賞を受賞しました。2019年現在、iPS細胞の研究は実用化に向けて、再生医療と創薬の分野で基礎研究から臨床研究へと発展してきています。

iPS細胞を活用した創薬(以下、iPS創薬)では、まず患者の皮膚などの細胞からiPS細胞を作り、そのiPS細胞を基にシャーレの中で病気を起こした神経や心臓などの患部の細胞を再現します。そこに、他の疾患で用いられている数千種類の既存薬を加えて、病気への効果を検証します。有効性が示されると人での効果や安全性を確かめる治験へと進みます(図1)。

## 創薬の可能性を広げるiPS創薬

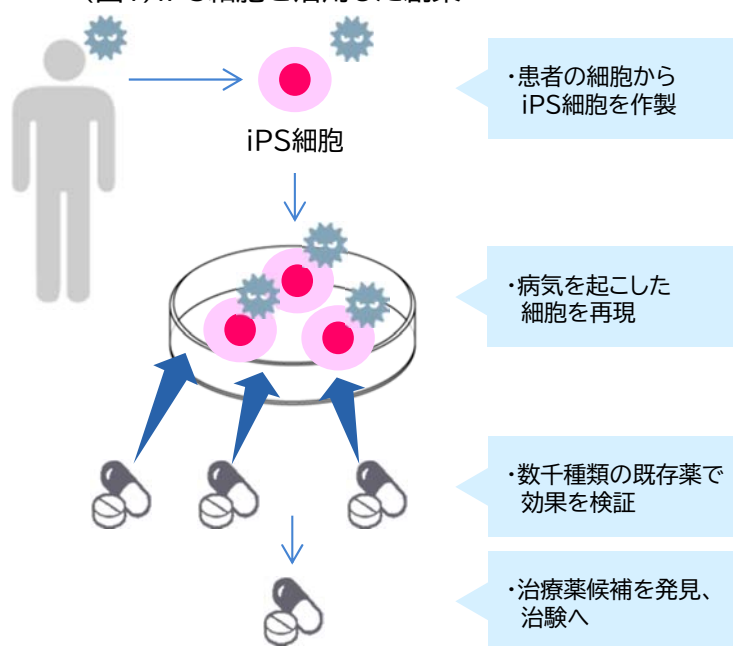
創薬では一般的に動物実験を行います。人とマウスなどの動物は遺伝子の構造等が異なるため、病態を再現できずに開発が滞っていた難病があります。

iPS創薬であれば、適切なモデルとなる動物がいなくても、安全性がすでにわかっている既存薬が治療薬候補となるため、病気を再現したiPS細胞で有効性が示されると治験が可能となります。このようにiPS創薬は、開発が進みにくい希少疾患の難病に対して特に有効で、創薬の可能性を広げることでしょう。

## 治験開始のiPS創薬

2017年9月に世界で初めてiPS創薬を用いた治験が開始されました。直近では、京都大学でiPS創薬によってボスチニブ(慢性骨髄性白血病の治療薬)が筋萎縮性側索硬化症(ALS)の治療薬として効果があることを発見し、2019年3月からALS患者における安全性を評価するための治験を開始しました。今後ますますiPS創薬に注目が集まります(図2)。

### ・・・(図1)iPS細胞を活用した創薬



(出所)各種資料等を基に三菱UFJ国際投信作成

### ・・・(図2)治験開始のiPS創薬(一例)

👑世界初



2017年9月から治験開始 (京都大学・大日本住友製薬)

進行性骨化性線維異形成症(FOP)  
・・・筋肉や靭帯に骨ができる病気

免疫抑制剤の既存薬  
「シロリムス」を転用



2019年3月から治験開始 (京都大学)

筋萎縮性側索硬化症(ALS)  
・・・全身の筋肉が徐々に衰えていく病気

白血病の既存薬  
「ボスチニブ」を転用

(出所)国立研究開発法人 日本医療研究開発機構、各種報道の資料を基に三菱UFJ国際投信作成

・上記は、過去の実績・状況または作成時点での見通し・分析であり、将来の市場環境の変動や運用状況・成果を示唆・保証するものではありません。

・上記のイラストはイメージ図であり、全てを網羅するものではありません。

※【本資料に関するご注意事項等】の内容を必ずご覧ください。

【本資料に関するご注意事項等】

投資信託のリスクとお客さまにご負担いただく費用について

◎投資信託に係るリスクについて

投資信託は、主に国内外の株式や公社債およびリート等の値動きのある証券を投資対象としているため、当該資産の市場における取引価格の変動や為替の変動等により基準価額が変動します。これらの運用により信託財産に生じた損益はすべて投資者のみなさまに帰属します。したがって、投資者のみなさまの投資元本が保証されているものではなく、基準価額の下落により損失を被り、投資元本を割り込むことがあります。投資信託は預貯金と異なります。また、投資信託は、個別の投資信託毎に投資対象資産の種類や投資制限、取引市場、投資対象国等が異なることから、リスクの内容や性質が異なりますので、ご投資にあたっては投資信託説明書(交付目論見書)、目論見書補完書面等をよくご覧ください。

◎投資信託に係る費用について

ご投資いただくお客さまには以下の費用をご負担いただきます。

■購入時(ファンドによっては換金時)に直接ご負担いただく費用

購入時(換金時)手数料・・・上限 3.24%(税込)

※一部のファンドについては、購入時(換金時)手数料額(上限 37,800円(税込))を定めているものがあります。

■購入時・換金時に直接ご負担いただく費用

信託財産留保額・・・ファンドにより変動するものがあるため、事前に金額もしくはその上限額またはこれらの計算方法を表示することができません。

■投資信託の保有期間中に間接的にご負担いただく費用

運用管理費用(信託報酬)・・・上限 年率3.348%(税込)

※一部のファンドについては、運用実績に応じて成功報酬をご負担いただく場合があります。

その他の費用・手数料・・・上記以外に保有期間等に応じてご負担いただく費用があります。投資信託説明書(交付目論見書)、目論見書補完書面等でご確認ください。

※その他の費用・手数料については、売買条件等により異なるため、あらかじめ金額または上限額等を記載することはできません。

上記の費用(手数料等)については、保有金額または保有期間等により異なるため、あらかじめ合計金額等を記載することはできません。

《ご注意》

上記のリスクや費用項目につきましては、一般的な投資信託を想定しております。費用の料率につきましては、三菱UFJ国際投信が運用するすべての公募投資信託のうち、ご負担いただくそれぞれの費用における最高の料率を記載しております。投資信託に係るリスクや費用は、それぞれの投資信託により異なりますので、ご投資をされる際には、事前によく投資信託説明書(交付目論見書)、目論見書補完書面等をご覧ください。

【本資料のご利用にあたっての注意事項等】

■本資料は、ヘルスケア関連の情報をご提供するために三菱UFJ国際投信が作成した資料であり、金融商品取引法に基づく開示資料ではありません。本資料は投資勧誘を目的とするものではありません。

■投資信託は、預金等や保険契約とは異なり、預金保険機構、保険契約者保護機構の保護の対象ではありません。銀行等の登録金融機関でご購入いただいた投資信託は、投資者保護基金の補償の対象ではありません。

■投資信託は、販売会社がお申込みの取扱いを行い委託会社が運用を行います。

■本資料の内容は作成時点のものであり、将来予告なく変更されることがあります。

■本資料は信頼できると判断した情報等に基づき作成しておりますが、その正確性・完全性等を保証するものではありません。

■投資信託をご購入の場合は、販売会社よりお渡しする最新の投資信託説明書(交付目論見書)の内容を必ずご確認ください。ご自身でご判断ください。

■クローズド期間のある投資信託は、クローズド期間中は換金の請求を受け付けることができませんので、ご留意ください。

本資料の作成は



三菱UFJ国際投信

三菱UFJ国際投信株式会社  
金融商品取引業者 関東財務局長(金商)第404号  
加入協会：一般社団法人投資信託協会  
一般社団法人日本投資顧問業協会