

平成27年度 基盤研究（S） 審査結果の所見

研究課題名	CRISPR による RNA 病モデル iPS 細胞・動物の構築と病態解明・治療薬創製
研究代表者	萩原 正敏（京都大学・大学院医学研究科・教授）
研究期間	平成27年度～平成31年度
審査結果の所見	<p>応募者らは、mRNA のスプライシングを制御することで、遺伝病を薬剤により治療できる可能性を世界で初めて実証したが、本研究はその結果に基づいて提案されている。また、RNA 病のキーとなる遺伝子の異常スプライシングを是正するため、ケミカルバイオロジーからの創薬を目指す意欲的な研究でもある。さらに、本研究は、CRISPR による RNA 病モデル iPS 細胞・動物の構築と病態解明・治療薬創製を目的としており、学術性、技術レベル、計画性、独創性、国際性、波及効果に問題はなく、その成果を大いに期待できる。</p> <p>以上の理由により、基盤研究（S）として採択すべき課題であると判断した。</p>