

受付番号

R1-O14-2

ドナーの皆様向け情報公開文書・通知文書

## 研究内容のご説明

ドナー説明用課題名 (括弧内は申請課題名)	再生医療用ストック iPS 細胞由来間葉系間質細胞を用いた 6 型コラーゲン欠損筋ジストロフィーモデルマウスへの細胞移植治療の有効性の検証研究 (同上)
研究期間	2019年12月 1日 ~ 2026年 3月31日まで
研究機関名	京都大学 iPS 細胞研究所
研究責任者氏名・職名	櫻井 英俊・准教授

## 研究の説明

## 1 iPS 細胞ストック及びその情報の利用目的及び利用方法

(他機関へ提供される場合はその方法含む。)

6 型コラーゲンの欠損によって発症する筋疾患には重症型のウルリッヒ先天性筋ジストロフィー (UCMD) とベスレムミオパチー (BM) とがあります。これらの疾患は重度な筋力低下を呈しますが、有効な治療法はありません。iPS 細胞から作製した間葉系間質細胞 (MSC) を筋肉内に移植することで、6 型コラーゲンの発現が回復し、筋力が回復できる治療が可能かどうかを検証することを目的とします。これまでの先行研究は実験用ヒト iPS 細胞(201B7)を用いて実施し、iPS 細胞由来 MSC の移植により UCMD モデルマウスにおいて 6 型コラーゲンの発現が回復し、6 型コラーゲン発現領域周囲で再生筋線維が増加し、筋線維径が増大するなど、ある程度の有効性が見込めるデータを得られています。本研究では、再生医療用ストック iPS 細胞から MSC を分化誘導し、MSC の全身性の移植が UCMD の治療となりうるのかどうか、モデルマウスを用いて検証します。

## 2 iPS 細胞研究財団から提供される試料・情報の項目

〔試料〕 iPS 細胞ストック

〔情報〕 ドナーの HLA 情報、感染症検査結果、性別、年代、血液型、  
iPS 細胞の HLA 情報、核型検査結果、遺伝子解析結果

## 3 iPS 細胞ストック等を使用する共同研究機関及びその研究責任者氏名

該当なし

## 4 ドナー又はその代理人の求めに応じた、iPS 細胞ストックの利用または他の研究機関への提供の停止について

iPS 細胞ストック研究にご協力いただいた場合、iPS 細胞が作製される以前であれば、研究参加に同意いただいた後でも、不利益を受けることなく、文書により同意を撤回することができます。

iPS 細胞が作製された後に同意を撤回される場合、それ以降はあなたの iPS 細胞を外部の研究機関へ提供しません。ただし、その場合でも、これまでに提供した細胞は引き続き使用される可能性があります。また、既に関係が進んでいる場合は、患者さんへの影響を考え、中止することができません。どうかご理解のほどよろしくお願いいたします。

#### 5 4のドナー又はその代理人から、同意撤回を受け付ける方法

まずは、下記へご連絡いただき、後ほど同意撤回文書を CiRA\_F まで提出ください。

〔お電話の場合〕 iPS ストックドナー専用ダイヤル 075-366-7181

〔メールの場合〕 participant@cira-foundation.or.jp

〔受付時間〕 平日 10:00~17:00

#### 本研究に関する問合せ先

所属	京都大学 iPS 細胞研究所
担当者	櫻井 英俊
住所	京都市左京区聖護院川原町53
電話	075-366-7055
Mail	hsakurai@cira.kyoto-u.ac.jp