

# 序

2006年にiPS細胞が報告されてから20年が経過し、幹細胞研究はいま、新たな段階に入っている。幹細胞は、自己複製や分化を理解するための研究対象であるだけでなく、患者由来細胞からヒト病態を再現し、病態機序を解明し、治療法を探索するための研究基盤として用いられるようになった。現在では、iPS細胞やES細胞などの多能性幹細胞に加え、組織幹細胞、がん幹細胞、オルガノイド、生体模倣システム（microphysiological system：MPS）など、多様な細胞・モデル研究が疾患研究と結びつきつつある。

この流れを後押ししているのは、細胞培養や分化誘導技術の進歩だけではない。医薬品開発の評価体系も大きく動きは始めている。米国食品医薬品局（FDA）は、医薬品開発における動物試験への依存を段階的に減らし、ヒト細胞を用いた評価系、オルガノイド、MPS、計算モデルなどのnew approach methodologies（NAMs）を活用する方針を明確にしている。欧州でも、3Rsの理念のもと、NAMsを医薬品評価へ取り込むための議論と制度整備が進められている。重要なのは、これらの動きが単なる「動物実験の代替」を意味するのではないことである。問われているのは、ヒトの病態や薬剤応答をどのようなモデルで、どこまで予測できるのかという、創薬科学そのものの問いである。

疾患幹細胞研究は、この問いに応える重要な基盤となりうる。患者由来細胞を起点として、発生・分化、ゲノム、疾患モデリング、薬理・毒性評価、遺伝子編集、オルガノイド、MPS、AI、創薬、臨床研究、さらには規制科学までをつなぐことによって、基礎研究と医療応用の間に存在してきたトランスレーショナルギャップを縮められる可能性がある。一方、その実現には、1つの研究室、1つの技術、あるいは1つの専門領域だけでは十分ではない。そこに必要なのは、個々の技術をさらに高度化することに加えて、異なる専門性をもつ研究者が継続的に対話し、互いの知識を結び付ける場である。

こうした考えのもと、わが国でも日本疾患幹細胞学会が設立され、幹細胞・発生研究に加え、疾患研究、工学、創薬、臨床医学、情報科学など、異なる領域の研究者が「ヒト疾患を理解する」という共通の課題を議論する場が生まれつつある。これは既存の研究領域を分けるためのものではなく、むしろそれらをつなぐための試みである。本増刊号では、このような視点から「疾患幹細胞学」を、幹細胞の基礎生物学から病態、疾患モデル、薬理評価、新規技術・研究基盤、そして医療応用まで、1つの連続した流れとして俯瞰する構成とした。本増刊号が領域横断的な対話を促す1つの機会となることを期待している。

疾患幹細胞研究の価値は、幹細胞からヒトの病気をどこまで深く理解し、新しい医療へと結び付けられるかにある。本増刊号が、基礎から創薬・臨床へ、そして臨床から再び基礎へと知識が循環する新しい疾患研究を考える契機となれば幸いである。

最後に、ご執筆いただいた先生方、羊土社の吉田賢史さま、橋本紫光さまをはじめ実験医学編集部の皆様の多大なる努力によって本増刊号の発刊にこぎつけられたことを、心から感謝いたします。

2026年9月

京都大学iPS細胞研究所/  
理化学研究所バイオリソース研究センターiPS創薬基盤開発チーム  
井上治久