

「ケトン食による DMD 病態治療効果のヒト iPS 細胞を用いた実証研究」につきまして

産業技術総合研究所では、京都大学 iPS 細胞研究所から試料・情報の提供を受け、ヒト由来試料実験計画ヒ 2022-510「ケトン食による DMD 病態治療効果のヒト iPS 細胞を用いた実証研究」を実施いたします。

#### ①本研究の目的及び方法

デュシェンヌ型筋ジストロフィー (Duchenne muscular dystrophy, 以下 DMD) は根本的な治療法が確立されていない遺伝性筋疾患であり、40 歳前後で死に至る難病です。これまでの産業技術総合研究所の研究により、中鎖トリグリセリドを含むケトン食を摂取させることにより、DMD モデルラットの病態が改善することが見いだされました。ケトン食摂取の効果のヒトでの実証の第一歩としまして、DMD 患者由来の iPS 細胞から分化させた骨格筋を用いて、ヒト DMD 細胞での効果を検証します。

実験実施期間は、産業技術総合研究所の理事長による承認日から 2027 年 3 月 31 日までを予定しています。

#### ②本研究で利用される、又は提供を受ける試料・情報

京都大学 iPS 細胞研究所で作成されました DMD 患者由来の iPS 細胞とその遺伝子修復株が、本実験計画で使用されます。また、提供者の年齢、性別、遺伝子変異といった情報も使用されます。これらの細胞株の作成やそれらに付随する情報は、既に京都大学の研究グループにより学術誌で公表されています。

#### ③試料・情報の提供を行う機関の名称及びその長の氏名

本実験計画で使用される試料や情報は、京都大学 iPS 細胞研究所から提供を受けます。京都大学 iPS 細胞研究所の機関の長は、  
所長 高橋 淳  
であり、提供に関する責任者は、  
臨床応用研究部門准教授 櫻井英俊  
です。

#### ④提供を受ける試料・情報の取得の方法

京都大学附属病院において 2007 年から 2012 年の間に DMD と診断され、京都大学での研究計画「疾患特異的 iPS 細胞の作成とそれを用いた疾患解析に関する研究」に基づき、主治医より研究参加、試料・情報の提供やその外部配布の説明を受け、それらに同意された（代諾を含む）患者様より皮膚組織が採取され、それから DMD 疾患特異的 iPS 細胞が作成されました。

情報は、カルテや診療記録、問診票から取得されましたが、本実験計画で提供を受ける情報は、学術誌で既に公表されているものです。

⑤提供を受ける試料・情報を用いる研究に係る研究責任者の氏名及び当該者が所属する研究機関の名称

本実験計画の責任者は、産業技術総合研究所細胞分子工学研究部門の藤倉祐里です。

⑥利用する者の範囲

ヒト由来試料実験計画ヒ 2022-510「ケトン食による DMD 病態治療効果のヒト iPS 細胞を用いた実証研究」の実験従事者が、提供を受けた試料・情報を取り扱います。

⑦試料・情報の管理について責任を有する者の氏名又は名称

産業技術総合研究所での試料・情報の管理の責任は、  
理事長 石村和彦  
が負います。

⑧研究対象者が識別される試料・情報の利用又は他の研究機関への提供の停止を希望する場合

患者さんご本人やご家族（ご遺族）が本研究への参加を希望されず、産業技術総合研究所への試料・情報の提供の停止を希望される場合は、主治医、又は、京都大学医学部附属病院臨床研究相談窓口にお申し出ください。産業技術総合研究所では、二重に仮名化された上で（個人を識別できる氏名などの情報が削除され符号等に置き換えられた状態で）提供を受けるため、研究対象者様に直接対応することはできません。

京都大学医学部附属病院 臨床研究相談窓口

(tel) 075-751-4748 (E-mail) [ctsodan@kuhp.kyoto-u.ac.jp](mailto:ctsodan@kuhp.kyoto-u.ac.jp)

尚、本研究の対象者に該当する方は、希望されるならば、他の研究対象者等の個人情報及び知的財産の保護等に支障がない範囲内で本研究に関する研究計画書等の資料を入手・閲覧することができます。その場合は、下記まで電子メールにてご連絡ください。

連絡先：[yuri.fujikura@aist.go.jp](mailto:yuri.fujikura@aist.go.jp)