

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109191h0002
研究開発課題名 : 心臓線維芽細胞をターゲットとする心筋再生遺伝子治療薬の開発
研究代表機関名 : 学校法人慶應義塾
研究開発代表者名 : 家田真樹

評価委員会のコメント :

○評価できる点、推進すべき点、研究事業にとって必要である理由

非常にユニークなアプローチで、有望だと思われる。

ダイレクトリプログラミングで成果を出している。

ユニークな治療方法である。ポジティブの結果を得た。

報告書に記載されている成果が、この委託研究開発期間のみに得られたものとは考えにくいところもあるが、着実に成果をあげている。

心臓線維芽細胞をターゲットとする遺伝子治療用ベクターを開発し、心筋リプログラミング遺伝子を導入しようという意欲的な研究である。

ユニークな研究である。

ステップを踏みながらデータが積み重ねられてきている。

素晴らしいと思います。

臨床応用が期待できる研究である。

心筋細胞の直接リプログラミング用のベクター候補となる AAV ベクター、レンチウイルスベクター、センダイウイルスベクターが作成され、センダイウイルスベクターで生体内心筋リプログラミングが確認されたことは評価できる。

ユニークな遺伝子治療法であり、開発を進める価値がある。

自家リプログラミングは画期的な手法である。ベクターの開発と選択、薬剤の組み込みが系統的に行われている。

独創的なアイデアによる治療法の開発研究である。マウス動物実験モデルでは成功している。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

まだベクターの絞り込みに至っていない。

大動物での POC 試験をベクターを絞り込んでから実施するのか、大動物での結果で絞り込むのか、それによって臨床に入るまでの期間と費用が変わると思われる。AAV ウイルスベクターで進めることになった場合に、センダイウイルスベクターで米国のベンチャーあたりが開発したときに、勝てるだけの効果を示すのかも懸念点ではある。

専門雑誌での発表は文句ないが、アウトリーチ活動が決して十分ではない。

in vivo 大動物でのデータをとっていく必要がある。

根本のリプログラミング特許が海外にある。早期に日本へ移すことが勧められる。

臨床では拡張型心筋症しかターゲットがないと考えられる。

種々のベクターを検討している段階で、次のステップに進むには開発候補品の絞り込みが必要である。また、ヒトと動物ではベクターの感染性や組織指向性が異なる可能性もある点に注意が必要である。

2 兎を追っている。本当に腫瘍化しないのか？免疫原性はどうか？off target effect はないのか？

長期的効果はどうか、安全性はどうか、他臓器等への影響はないのか等の課題はある。

以上