

再生医療実現拠点ネットワークプログラム
(技術開発個別課題)
研究開発課題評価(令和5年度実施)
事後評価結果報告書

研究開発課題名	ムコリピドーシス(ICD)を対象とした CRISPR-Cas3 系ゲノム編集技術により作製した胎児付属物由来造血幹細胞製剤の POC 取得
代表機関名	国立研究開発法人国立成育医療研究センター
研究開発代表者名	福原 康之
全研究開発期間	令和3年度～令和4年度

1. 総合評価

- ・良いも悪いともいえない

【評価コメント】

本事業を通して、腎由来細胞(HEK293 細胞)株や CD34 陽性造血幹細胞株、患者由来 iPS 細胞での *GNPTAB* 遺伝子の切断の成功、*GNPTAB* 遺伝子ノックアウトマウスの作出を通じた、ムコリピドーシス II 型/III 型を対象とした CRISPR-Cas3 による *ex vivo* 遺伝子治療の可能性が見出されるといった進展があった。一方で、前回の中間評価以降に CRISPR-Cas3 によるノックイン技術の確立に注力してきたが、野生型 Exon 13 をノックインできるまでのゲノム編集技術の確立には至っておらず、ノックインに本ゲノム編集技術を活用するには更なる基礎研究の積み重ねが必要であるなど、本研究の目標を達成するためには多数の克服すべき障壁が認められた。また、原著論文の掲載や特許出願などが不十分であった。患者本人の細胞を正常化して移植する自家細胞移植治療法というコンセプトは期待が高いことから、適切な研究の枠組みで本ゲノム編集技術の有用性や意義を引き続き明らかにしていくことが望まれる。

以上