再生医療実現拠点ネットワークプログラム
（再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（基礎応用研究課題））
研究開発課題評価（令和5年度実施）
事後評価結果

研究開発課題名	特異的デリバリーシステムを使用した造血幹細胞の in vivo 遺伝子治療
代表機関名	東京大学
研究開発代表者名	内田　直也

1．総合評価

良い

【評価コメント】

標的特異的な接着能と融合能を合わせ持つ標的型レンチウイルスベクターの設計・作製に成功した。さらに、標的抗原発現細胞株を樹立し、in vitro 評価系を確立した。抗体特異性を有する in vivo 送達ベクターシステムを構築した点は大きな成果であり、実装可能な遺伝子治療ツールとして高い汎用性が見込まれ、今後の展開が期待される。

一方、標的脂質ナノ粒子システムの構築、及び、ヒト CD34(+)細胞を免疫不全マウスに移植したヒト化マウスを用いたベクターシステムの in vivo 評価（機能性、安全性等）が未着手であり、非特異的細胞との遺伝子導入率（感染効率）の差などの評価も十分でなく、引き続き最適化の検討が必要と考えられる。