

創薬基盤推進研究事業 研究開発課題  
事後評価報告書

|          |                           |
|----------|---------------------------|
| 事業名（年度）  | 創薬基盤推進研究事業（令和3年度～令和5年度）   |
| 研究開発課題名  | 心筋症に対する遺伝子治療効果の予測手法の開発と実証 |
| 代表機関名    | 学校法人自治医科大学                |
| 研究開発代表者名 | 魚崎 英毅                     |

総合評価：優れている

【評価コメント】

本研究は、遺伝子治療効果の判定予測手法の開発を目指して、iPS 細胞由来心筋細胞を用いた新しい心筋症の in vitro 病態モデルを開発し、さらに、心筋症モデルマウスとして、多種心筋症に呼応する点変異心疾患マウスモデルを作出し、臨床所見との類似性も含めて検討を進めており評価できる。さらに、治療に適した投与タイミングやプロモーターに係る知見を得て、遺伝子治療効果予測および低分子薬物の薬効予測法としての可能性を示した。PS、PO の助言も踏まえて、計画通り研究を進捗させ、基盤技術として利用可能な優れた成果を得ており、この分野の研究進展に貢献することを期待する。

ヒト iPS 細胞による in vitro 系の構築、マウスモデルでの遺伝子治療効果の実証および再現性の確認について、今後も検討を継続的に進めることを望む。

以上