

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム
(幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム)
研究開発課題評価(令和6年度実施)
事後評価結果報告書

研究開発課題名	多様な難聴遺伝子変異に対応した遺伝性難聴患者 iPS 細胞による AAV ゲノム編集治療法の開発
代表機関名	順天堂大学
研究開発代表者名	神谷 和作

【評価コメント】

遺伝性難聴のゲノム編集治療の創出に向けて、蝸牛支持細胞に親和性のある All in-one AAV ベクターを構築し、その有用性をヒト iPS 細胞由来の細胞モデルと動物モデルで示すなど、複数の成果を得た点は評価できる。国際論文での報告や、企業と連携した特許出願も行われている。一方、難聴モデルマウスでの聴力改善の確認は今後の課題である。軽度難聴型の患者由来 iPS 細胞に対するゲノム編集治療効果は必ずしも高くなく、その原因追及と効果を高める技術の開発が期待される。