

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 研究開発課題一覧

(令和7年8月1日現在)

※敬称および国立大学法人等の表記は省略

再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点

研究開発課題名	代表者	代表機関	役職
次世代医療を目指した再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発拠点	高橋 淳	京都大学	教授

再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（非臨床PoC取得研究課題）

研究開発課題名	代表者	代表機関	役職
Pompe病の根治を目指した新規遺伝子治療法の開発研究	小林 博司	東京慈恵会医科大学	教授
糖尿病根治を目指した MYCL によるリプログラミングを介した臍島再生医療の開発	山田 泰広	東京大学	教授
段階的胎生臓器補完による網羅的慢性腎不全の抜本的治療法の開発	横尾 隆	東京慈恵会医科大学	教授
難治性肝疾患に対する画期的な小児ゲノム編集治療の創出	大森 司	自治医科大学	教授
iPS細胞を用いた脳梗塞治療実現のための応用研究	高橋 淳	京都大学	教授
機能強化型肝臓オルガノイドを用いた UTOpiA システムの開発	武部 貴則	大阪大学	教授
MASH 肝硬変を対象としたヒト iPSC 肝臓オルガノイド移植治療法の開発	谷口 英樹	東京大学	教授
ニューロリハビリテーション療法を併用した慢性期脊髄損傷に対する細胞移植治療の開発	中村 雅也	慶應義塾大学	教授
CRISPR-Cas3 mRNA-LNP モダリティによる安全な in vivo ゲノム編集治療基盤の構築	真下 知士	東京大学	教授
遺伝性免疫異常症に対する新規遺伝子修正治療の研究開発	森尾 友宏	東京科学大学	特別教授
造血幹細胞増幅技術を基盤とした改変造血・免疫細胞の創出と応用	山崎 聰	東京大学	教授
肝移植患者の免疫抑制剤を最低用量化する個別化医療の実現にむけた新規制御性 T 細胞製剤開発研究	内田 浩一郎	順天堂大学	副センター長
SOD1 変異 ALS に対する遺伝子編集治療法の開発	井上 治久	京都大学	教授

iPS 細胞由来髓核を用いた髓核 replacement による椎間板変性の再生治療開発	海渡 貴司	大阪大学	特任准教授
バイオ 3D プリンターで作製した三次元移植組織を用いる革新的歯周組織再生療法の開発	加治屋 幹人	広島大学	教授
臨床試験を目指した福山型筋ジストロフィーの筋・脳病変を同時に治療する AAV 遺伝子治療法の開発	戸田 達史	国立精神・神経医療研究センター	病院長
多発性硬化症治療を目指した miRNA 分泌型遺伝子細胞治療薬の開発	朝長 啓造	京都大学	教授
難治性がんに対する次世代ウイルス療法の研究開発	中村 貴史	鳥取大学	教授
先天性 GPI 欠損症の遺伝子治療に関する研究開発	村上 良子	大阪大学	特任教授
エリスロポエチン誘導性選択性制御遺伝子(SRG)搭載 CAR-T 療法の非臨床開発	大嶺 謙	自治医科大学	准教授
実用化に向けた次世代抗がんヘルペスウイルスの非臨床と製造工程開発	藤堂 具紀	東京大学	教授
徐脈性不整脈に対する高品質心臓ペースメーカオルガノイド移植治療法の開発	遠山 周吾	藤田医科大学	教授
間葉系幹細胞治療用中空糸膜カラムの実用化	古橋 和拡	東海国立大学 機構 名古屋大学	講師
重症 1 型糖尿病の革新的根治に資する in vivo 細胞運命変換技術開発	松本 征仁	順天堂大学	教授
心筋リプログラミング AAV ベクターによる革新的心臓再生遺伝子治療の開発	家田 真樹	慶應義塾大学	教授
膝関節軟骨損傷に対する再生治療非臨床 PoC の獲得 : rTR によるゲノム編集 iPS 細胞由来軟骨の開発	妻木 範行	大阪大学	教授
肝線維化を標的とした新規細胞外小胞医薬品の開発	松崎 潤太郎	慶應義塾大学	教授

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）

研究開発課題名	代表者	代表機関	役職
遺伝子導入神経幹細胞を用いた脊髄機能再生に関する基礎研究	岡野 栄之	慶應義塾大学	教授
ヒト人工染色体ベクターによるデザイナーiCAR-T 細胞創出プラットフォーム開発	香月 康宏	鳥取大学	教授

遺伝子発現制御機構の開発による Rett 症候群及び MECP2 重複症候群の遺伝子治療開発	小島 華林	自治医科大学	准教授
次世代 mRNA テクノロジーを活用した細胞・遺伝子治療技術の開発	齊藤 博英	京都大学	教授
移植用ヒト固体臓器作出を目的とした協調的ヒト→動物キメラ作出技術の開発	中内 啓光	東京科学大学	特別栄誉教授
固体がんの抗原不均一性の克服により治癒を目指す、多種類の共通がん抗原を標的とするカクテル CAR/TCR-T 細胞療法の開発	中面 哲也	国立がん研究センター	分野長
遺伝子治療実現に向けたヒト黄斑オルガノイドの開発	西田 幸二	大阪大学	教授
胎児丸ごとの体外培養法を用いた次世代オルガノイドの開発	西中村 隆一	熊本大学	教授
難治性固体がんに対する PRIME CAR 導入 iPS 細胞由来抗原提示細胞を用いた NKT 細胞標的免疫療法の開発研究	本橋 新一郎	千葉大学	教授
革新的 RNA 編集技術を用いた筋萎縮性側索硬化症の遺伝子治療開発	森本 悟	慶應義塾大学	特任准教授
エピゲノム編集によるレット症候群の遺伝子治療の研究開発	伊藤 雅之	国立精神・神経医療研究センター	特任研究室長
生体内でキメラ抗原受容体 T 細胞応答を制御する新たな医療技術の開発	植村 靖史	国立がん研究センター	ユニット長
分子特異的 DNA アプタマー修飾で細胞特異性を改良した次世代型分子特異的アデノ随伴ウイルス(Apt-AAV)ベクター基盤の研究開発	大庭 賢二	自治医科大学	講師
キメラ抗原受容体を樹状細胞に組み込んだ新規細胞療法に関する研究開発	粕谷 英樹	東海国立大学 機構 名古屋大学	教授
光操作に基づく in vivo 遺伝子治療技術の創出	佐藤 守俊	東京大学	教授
老化細胞リプログラミング機構の解明による加齢組織再生法の創出	城村 由和	金沢大学	教授
造血幹細胞に対する超高効率ゲノム編集プラットフォームの開発	中原 史雄	自治医科大学	准教授
難治性がんの根治を目指した腫瘍溶解性ワクシニアウイルスベクターによる次世代がん遺伝子治療法の研究開発	中村 貴史	鳥取大学	教授
多様な反応性を持つヒトナイーブ T 細胞を再生する人工胸腺デバイスの開発	濱崎 洋子	京都大学	教授
iPS 細胞を用いた革新的ミトコンドリア置換技術の開発	林 克彦	大阪大学	教授

ダイレクトリプログラミングにより網膜神経節細胞を再生させる新規線内障治療法の開発	福田 慎一	筑波大学	准教授
iPS 細胞由来抗 CADM1-CAR-T 細胞による ATL 治療法開発に関する研究	侯野 哲朗	国立健康危機 管理研究機構 国立感染症 研究所	所長
低コスト及び有効性・安全性を高めた誘導型心臓遺伝子治療ベクターの開発	松岡 研	大阪大学	准教授
GPC3 CAR 発現 iPS 細胞由来 ILC/NK 細胞の患者体内生存延長と抗腫瘍エフェクター機能向上を目指したリバーストランスレーショナル研究	金子 新	京都大学	教授
自家 iPS 細胞由来血小板製剤の臨床研究(iPLAT1)の事後検証と製剤改良	杉本 直志	京都大学	特定准教授
新規抗体医薬の設計および CAR-T 細胞療法との融合による革新的がん免疫療法の研究開発	伊藤 雄介	慶應義塾大学	専任講師
人工遺伝子回路を用いた造血幹細胞に特異的な細胞運命制御技術の開発	小野 紘貴	東京大学	助教
毛髪再生医療のためのヒト毛包オルガノイドの開発	景山 達斗	神奈川県立 産業技術総合 研究所	常勤研究員
内在性間葉系幹細胞を用いた変形性関節症治療のための再生医療基盤の開発	木村 健一	筑波大学	助教
未成熟器官との相互作用に基づく抗老化機構の理解とその応用技術開発	小池 博之	東京科学大学	准教授
ヒト成熟心筋細胞、心臓線維芽細胞の細胞周期制御による虚血性心不全に対する新規心臓再生治療開発	舟越 俊介	京都大学	特定助教
ヒト iPS 細胞由来バイオ人工心臓の高機能化とスケールアップ	三木 健嗣	大阪大学	特任准教授 (常勤)
臓器再生早期実現に向けた誘導前駆細胞による胎仔キメラ作製とマルチキメラ腎臓の開発	山中 修一郎	東京慈恵会 医科大学	助教
アクシオロイドを用いたヒト脊髄発生・疾患の in vitro 3 次元モデル	ALEV CANTAS	京都大学	教授
ベクターフリーシステムによるヒト線維芽細胞由来インスリン産生細胞の最適化と応用	石坂 幸人	国立健康危機 管理研究機構 研究所	副所長・部 長
遺伝子発現の光操作技術を用いたヒト iPS 細胞の選択的ニューロン分化手法の開発	今吉 格	京都大学	教授

骨髓造血再生期に学ぶ造血幹細胞の自己複製分裂誘導法の開発	梅本 晃正	熊本大学	特任准教授
転写機構改変による自己複製能を持つ CAR-NK 細胞の開発	籠谷 勇紀	慶應義塾大学	教授
加齢関連炎症性皮膚疾患に対する幹細胞標的治療法の開発	佐田 亜衣子	九州大学	教授
胎盤構成細胞の時空間的動態変化の解明とトロホblast幹細胞の機能回復機構の確立	高島 康弘	京都大学	教授
心筋細胞と心外膜細胞を用いた心臓オルガノイドによる心筋組織再建治療の開発	吉田 善紀	京都大学	准教授
血管網を有するヒト多能性幹細胞由来肺胞組織の構築	池尾 聰	東京大学	特任助教
移植治療を目指した iPS 細胞由来ヒト骨格筋組織作製のための基盤技術の開発	内村 智也	京都大学	特定助教
難治性うつ病の遺伝子治療に関する研究開発	奥山 輝大	東京大学	教授
小腸オルガノイドを用いた再生医療へ向けた基盤的研究	杉本 真也	慶應義塾大学	助教
ヒト軟骨前駆細胞を利用した気道狭窄疾患再生医療等製品の開発に向けた基礎研究	高尾 知佳	岡山大学	講師
iPS 細胞由来唾液腺オルガノイド移植による口腔乾燥症の治療法開発	田中 準一	昭和医科大学	准教授
栄養膜細胞への特異的遺伝子操作による着床制御法の開発	伊川 正人	大阪大学	教授
次世代抗体／可溶性受容体の遺伝子発現型・腫瘍溶解性ウイルスの新技術開発による新モダリティと革新的がん治療シーズの創出	小賊 健一郎	鹿児島大学	教授
造血幹細胞医学のアップデートのための三位一体型アプローチ	田久保 圭誉	東北大学	教授
Perturbation Atlas を用いたヒト血管内皮症候群治療基盤の開発	武部 貴則	大阪大学	教授
AB凝集体の細胞内分解によるアルツハイマー病遺伝子治療法の開発	星 美奈子	京都大学	特定教授
国産ゲノム編集 Cas3 の高機能改変による網膜疾患治療法開発	星野 温	京都府立医科大学	講師
iPS 細胞由来複合腸組織シートを用いた大型機能性ヒト腸管グラフト製造法の開発	水谷 知裕	東京科学大学	講師
クリスタリン網膜症に対する国産レンチウイルスベクターの開発	村上 祐介	九州大学	准教授

機能化 mRNA の吸入による呼吸器系での持続的抗体産生システムの開発	内田 智士	東京科学大学	教授
大型動物の体内環境を用いたヒト iPS 細胞から臓器の再生	長船 健二	京都大学	教授
造血幹細胞における CRISPR/Cas を使わない新しい精密ゲノム編集技術の開発	合山 進	東京大学	教授
光遺伝学による視覚疾患治療のための遺伝子治療薬研究	角田 聰	名古屋工業大学	特任准教授
幹細胞より再構築した腎臓の臓器内流れ形成による成熟化	萩原 将也	理化学研究所	理研白眉研究チームリーダー
ATL 細胞への革新的送達技術の確立と治療応用	安永 純一郎	熊本大学	教授
メモリー幹細胞性を有する T 細胞療法の開発	吉村 昭彦	東京理科大学	教授
iPS 細胞由来 NKT 細胞療法を用いた新規免疫治療の開発	青木 孝浩	千葉大学	助教
治療抵抗性膠芽腫に対する複合ウイルス遺伝子治療の開発	大谷 理浩	岡山大学	研究准教授
世代間伝搬性エピゲノム異常の修復技術の開発	高橋 悠太	熊本大学	特任准教授
炎症性腸疾患研究のための腸管神経叢を有する腸管モデルの開発	出口 清香	東京科学大学	講師
心不全制御因子を標的とする心不全治療法の開発	内藤 瑞	東京理科大学	講師
腫瘍特異的な炎症誘導能を搭載したヒトマクロファージ医薬の開発	新居 輝樹	九州大学	助教
脱分化型肝細胞を利用した糖尿病の新規治療法の開発	三浦 静	九州大学	准教授
がん精巣抗原-TCR ペア網羅的探索による新規免疫細胞療法の開発	村田 憲治	札幌医科大学	助教
遺伝子編集造血幹細胞に対する迅速機能予測システムの開発	余語 孝夫	東京大学	助教

疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

研究開発課題名	代表者	代表機関	役職
筋萎縮性側索硬化症における病態回避機構の解明と治療に資する層別化技術開発	岡野 栄之	慶應義塾大学	教授
ロングリードシーケンスと iPS 細胞技術で解き明かす、リピート構造異常に起因する骨格筋疾患の発症機構	櫻井 英俊	京都大学	准教授

運動ニューロン疾患におけるシナプスを介した神経変性機構の解明	岡田 洋平	愛知医科大学	教授
疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態機序解析による特発性間質性肺炎の層別化と創薬システムの開発	平井 豊博	京都大学	教授
不死化リンパ球遺伝子変異バンクを用いた、two-hit theory による不整脈原性右室心筋症の発症、病態悪化の分子機序の解明	松浦 勝久	東京女子医科大学	教授
ヌーナン症候群における心筋細胞周期脱制御機構の解明と治療候補薬の探索	伊藤 正道	東京大学	助教
患者 iPS 細胞由来視床下部一下垂体オルガノイドを用いた Prader-Willi 症候群の病態解明およびエピゲノム編集を用いた治療戦略の構築	奥野 博庸	東京医科大学	講師
認知症、脳卒中の病態解明にむけた遺伝性脳小血管病の血液脳関門破綻機序解明	西原 秀昭	山口大学	助教
ヒト特異的 RNA-タンパク質結合異常から迫る筋萎縮性側索硬化症の病態解明、治療法研究	横井 聰	東海国立大学 機構 名古屋大学	准教授
疾患特異的 iPS 細胞バンク事業	中村 和昭	理化学研究所	室長
脳細胞ヒト化による神経病態と免疫応答解析の基盤技術開発	井上 治久	京都大学	教授
疾患特異的 iPS 細胞の樹立・特性解析・加工の高度化・効率化・情報公開	枠屋 啓志	理化学研究所	室長
心臓の病理を統合的に再現する領域特異的心筋組織モデルの構築	吉田 善紀	京都大学	准教授
超高効率 1 細胞 RNA-seq 解析技術開発に基づく ALS 患者由来 iPS 細胞バンクの疾患関連 1 細胞データベースの構築	七野 成之	東京理科大学	講師
孤発性パーキンソン病 iPS 細胞ライブラリーを活用した治療薬探索	赤松 和土	順天堂大学	担当教授
機能性オルガノイドを用いた運動ニューロン疾患遺伝子治療薬スクリーニング系の確立	井上 治久	京都大学	教授
新・標的分子と新・神経機能解析法を用いた糖脂質代謝異常症の薬剤開発	江良 択実	熊本大学	教授
iPS 細胞を用いた疾患研究推進のための共同研究支援事業	齋藤 潤	京都大学	教授
疾患特異的 iPS 細胞を用いたアルツハイマー病初期の青斑核ノルアドレナリン神経の変性機序解明	飯島 浩一	国立長寿医療 研究センター	部長

iPS 細胞を用いた多系統萎縮症の病態に関する研究開発	尾崎 心	国立精神・神経医療研究センター	室長
iPS 技術で解明するミクログリア介在アルツハイマー病態	高鳥 翔	東京大学	助教
代謝的成熟性を獲得した iPS 心筋細胞を利用した遺伝性肥大型心筋症の心筋エネルギー代謝異常の解析	塚本 蔵	兵庫医科大学	主任教授
iPS 細胞を用いた小児特発性ネフローゼ症候群の NPHS1 リスクアリルに関する病態機序解明研究	堀之内 智子	神戸大学	講師
HTLV-1 関連脊髄症 (HAM) の治療開発を加速する患者特異的 iPS 細胞を用いた次世代神経病態モデルの開発	山野 嘉久	聖マリアンナ医科大学	主任教授

再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

研究開発課題名	代表者	代表機関	役職
アカデミア用 GMP 準拠ウイルスベクター製造・提供体制の基盤整備と人材育成	岡田 尚巳	東京大学	教授
細胞治療及び遺伝子治療を含む広範な再生医療研究の社会実装加速化に資する伴走支援	妹尾 浩	京都大学	機構長・教授
再生・細胞医療・遺伝子治療開発における知財と事業化の支援課題	長村 文孝	東京大学	教授
グローバル市場・規制を見据えた細胞・遺伝子治療の早期事業化戦略支援	名井 陽	大阪大学	教授
研究者に伴走し出口視点で事業化戦略を支援する産学連携プラットフォームの構築	土井 俊彦	国立がん研究センター	病院長
細胞治療の社会実装につなげる非臨床 POC 獲得のための細胞製品製造支援	長村 登紀子	東京大学	准教授
遺伝子治療研究の実用化促進に向けた研究者製造施設マッチング整備	岡田 尚巳	東京大学	教授
再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化加速に向けたウイルスベクター製造・提供基盤整備に関する研究開発	岡崎 利彦	大阪大学	病院教授
再生・細胞医療・遺伝子治療研究に関する倫理・社会共創課題の解決支援と調査研究	山本 洋一	大阪大学	教授