

医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）中間評価結果

1. 中間評価を実施した課題

課題名	遺伝子導入長期造血幹細胞を用いた小児難治性希少疾患の治療
代表機関	ネクスジェン株式会社
公募型	スタートアップ型
公募タイプ	研究開発タイプ

2. 本課題の概要

本課題は、遺伝子異常が原因で発症する小児難治性希少疾患を対象に、正常遺伝子を高効率に導入した自己複製能の強い長期造血幹細胞を持続的に培養できる技術を開発している。本技術が確立できれば、造血幹細胞移植が根治療法となる小児難治性希少疾患の治療向上につながると見込まれる。本課題の達成目標は、治験を実施するのに十分な有効性および安全性を確認・検証することである。

3. 評価結果

研究開発等の進捗状況及び今後の見込みについて評価した結果の概要を以下に示す。

「対象疾患、遺伝子ベクター選定、動物モデル選択などが適切に検討されていることから、今後も計画通りに進捗することが期待される。」

以上、課題評価委員会が研究開発の継続は妥当であると評価した結果に基づき、当機構は本委託研究開発の継続を決定した。

以上