

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム
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7年度実施)
事後評価結果報告書

研究開発課題名	KLF1-mRNA 医薬の開発による心筋再生誘導
代表機関名	国立循環器病研究センター
研究開発代表者名	菊地 和

【評価コメント】

心筋への高効率な遺伝子送達システムの開発に向けて、計画通りに研究が進められ、課題を整理した上でそれぞれの解決に向けた知見を蓄積している。Klf1-mRNA の機能面での有効性を検証し、心機能回復効果の可能性が示唆される結果を得ている。機能的な有効性を示せた一方で、治療効果、臨床的意義についてはまだ不明確であり、今後、病理学的な検討や、ヒト生体への投与を想定した場合の mRNA 医薬の課題の明確化、in vivo での有効性を示し、論文化することが期待される。これまでは齧歯類での検討であったが、今後、大動物での検証を予定しており、実施先となる候補企業が提示されていることから、さらなる進展が期待される。