

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	新規ゲノム編集技術とナノ DDS 探索によるダウン症候群の知的発達障害に対する遺伝子治療法の開発
代表機関名	大阪大学
研究開発代表者名	北畠 康司

【評価コメント】

ダウン症に対する遺伝子治療に関して、「Dyrk1a のコピー数適正化」という戦略が効果を発揮しうると示した研究成果は高く評価できる。送達技術である LNP の開発では計画を達成し、特許を出願している。現状は基礎的検討が完了した状況であり、特に in vivo で DYRK1a の制御の可否を示す POC を検証して行く必要がある。今後の実用化を目指すには、倫理的観点を含めて、投与タイミング、投与方法、導入効率と治療効果、投与ルートなどの臨床応用に必須な情報に関する更なる研究進展が期待される。更に、ヒトにおける有効性・安全性を予測するための非臨床試験のデザイン策定にあたっては、全く新しいコンセプトであるが故に、齧歯類だけではなく可能であれば霊長類でも検討し、企業と連携して当該遺伝子治療製品の開発を進めていくことが望まれる。