

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	人工ナノ粒子放出型細胞による次世代の細胞遺伝子治療プラットフォーム開発
代表機関名	京都大学
研究開発代表者名	堀田 秋津

【評価コメント】

ゲノム編集を伴う遺伝子治療と細胞治療とを共存させた新しいモダリティの基盤技術創出に向けて、遺伝子修復用の CRISPR-Cas9 を含むナノ粒子を移植細胞から分泌産生させることによって細胞補充と遺伝子修復を同時に達成する手法の開発に取り組んだ。遺伝子編集 EEV

(Engineered Extracellular Vesicle) ベクター構築および EEV 産生細胞の確立や、モデルマウスへの移植による治療コンセプトの実証などの成果が得られており、評価できる。また、患者団体などへのアウトリーチ活動も評価できる。今後、さらに研究開発を進展させつつ、知財を着実に取得していくことが期待される。モデルマウスで得られた結果について、EEV 送達遺伝子編集治療効果と、細胞移植効果のいずれがどの程度、どのようなメカニズムで寄与しているのか、さらに詳しく解析することが望まれる。腹腔内投与による損傷部位への遊走は認められていない結果について、静脈内投与などの全身投与による治療有用性および炎症部位への遊走などのさらなる検討が期待される。