

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	心筋細胞を標的とした遺伝子治療・変異修復治療による心臓疾患治療法の開発
代表機関名	東京大学
研究開発代表者名	野村 征太郎

【評価コメント】

研究計画で定めた当初の目標を達成し、さらに当初計画を超える複数の重要な知見を得ており、本研究分野の進展に大きく寄与している。心不全、心筋梗塞などの各種心疾患の治療法の創出に向けて、数多くのターゲット遺伝子を同定し、作用機序を明らかにする成果をあげており、高く評価できる。先天性心疾患に対するゲノム編集治療の成果も非常に有意義である。一方で、各遺伝子によって治療可能なレベルまで機能回復させられるかという観点からは、現在の遺伝子治療に使用されるモダリティによって実現可能な遺伝子導入効率との整合性、また安全性との兼ね合いになり、これは臨床現場での治療レジメンの確定にも必須になる情報であることから、今後の実用化を目指した丁寧な検討を期待したい。また今後、治療技術としての確立を目指すにあたり、研究体制や支援、連携先のさらなる充実化を図るとともに、臨床応用、社会実装に向けた課題を明確化し、その解決策の検討を入念に進めていくことが期待される。