

**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 (非臨床 PoC 取得研究課題))**  
**研究開発課題評価 (令和 7 年度実施)**  
**中間評価結果報告書**

研究開発課題名	段階的胎生臓器補完による網羅的慢性腎不全の抜本的治療法の開発
代表機関名	東京慈恵会医科大学
研究開発代表者名	横尾 隆

### 1. 研究概要

本研究は、ドナー不足という移植医療の根源的課題を克服するため、「段階的胎生臓器補完法」という独自のアプローチにより、腎不全の抜本的治療法開発を目指す。具体的には、①遺伝子改変を行わないブタ胎仔腎を移植する「第一世代製品」(対象:先天性腎無形成の胎児)、②iPS 細胞由来のネフロン前駆細胞でブタ腎を部分的にヒト化する「第二世代製品」、③さらに間質細胞もヒト化する「第三世代製品」(対象:成人の末期腎不全)を段階的に開発する。本アプローチは、胎仔臓器の低免疫原性と、宿主血管が侵入することで免疫寛容が誘導されやすい特性を最大限に活用するものである。これにより、複雑な腎臓の三次元構造と尿生成・排泄機能を再現し、非臨床 PoC の取得を経て、5 年以内の臨床応用開始を目指す。

### 2. 評価結果

腎臓の複雑な三次元構造を再現し、尿排泄能などの腎機能を獲得した新しい腎臓再生医療法の創出に向け、異種動物体内で作出する腎臓を段階的にヒトへの生体適合性を高めていく研究開発を実施している。これまでに、マウスからラット胎児への移植、ラットからラットの同種移植の有効性は確認され、第二世代、第三世代用組換えブタの作出も進んでいる。また、第一世代のマイクロミニブタからマイクロミニブタへのクロアカ移植については一定の成果が得られた。しかし、ブタからサルへの移植については未だ成功が見通せず、本事業期間内に非臨床 PoC 取得可能できるのか懸念が強い状況にある。開発競争の激しい異種移植に関して、わが国の医療の進展に資するため、残された本事業の期間内で、各世代の開発において実施項目を適切に選択し、モデル動物での試験により得られたデータ、知見、経験、技術的課題、倫理・社会共創における課題などをしっかりとまとめ、公開することが望まれる。