

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・遺伝子治療研究中核拠点)
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	次世代医療を目指した再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発拠点
代表機関名	京都大学
研究開発代表者名	高橋 淳

1. 研究概要

再生・細胞医療研究については、細胞の初期化・再生発生メカニズムを解明することで、樹立効率が良く、細胞株間のばらつきが無く、分化効率に優れた次世代の iPS 細胞(iPS 細胞 2.0)や ES 細胞を開発する。また、遺伝子治療研究については、遺伝子治療用ベクターの分泌・産生能力の向上につながる革新的高機能細胞の開発や次世代のゲノム編集技術・遺伝子送達技術の開発に取り組む。さらに、上記の再生・細胞医療研究と遺伝子治療研究を融合させることにより、細胞移植効果の改善や、リプログラミング技術を用いた *in vivo* 遺伝子治療の高度化を図るとともに、再生・細胞医療・遺伝子治療分野全体で必要な共通基盤技術の開発に取り組む。これらの成果のもと、従来の薬物治療や遺伝子治療に細胞治療も選択肢に加えた多次元組み合わせのベストマッチによる次世代医療の創成を目指す。国内外の研究者や産業界が英知を結集したモダリティ・分野融合型の共同研究を促進すべく、人材交流ネットワークを整備・拡充し、ネットワークを通じた情報共有や技術供与に取り組むことでハブ機能を果たすとともに、若手研究者の人材育成・裾野の拡大に向けた各種プログラムを企画・運営することで、若手研究者の受け入れ、育成、輩出という分野横断型若手研究者循環ループを創出する。

2. 評価結果

iPS 細胞 2.0 樹立や FGF フリーの改良型 ES 細胞作出、新規ゲノム編集、改変型 AAV ベクター、閉鎖系自動培養装置の稼働などの先端的な基盤技術の開発が着実に進展している。分担機関間での連携を深めるとともに、他機関との連携、成果物の供与も活発に行っている。若手研究者の育成、キャリアパス支援や、アウトリーチ活動を積極的に実施している。ヒト初期胚解析の倫理的課題に関して、本事業の議論を生かし、総合科学技術・イノベーション会議生命倫理専門調査会に貢献した点は評価できる。再生・細胞医療・遺伝子治療研究分野の中核拠点としての役割を果たしつつあり、オールジャパン体制で横断的かつ革新的な研究開発を推進していると評価できる。今後、iPS 細胞 2.0 や関連技術の開発目標をさらに明確化し、特異的マーカーの同定や、従来技術等と比較した定量的評価の充実化などが望まれる。将来の医療応用に向けては、定量的コスト削減目標、成果の臨床的意義の明瞭化が引き続き重要であり、iPS 細胞製造と分化培養の自動化における仕様と品質保証手法などの事業化、製造に関する検討をさらに深めることが期待される。組織特異的遺伝子送達技術に関して実用化に向けた研究開発のさらなる進展が期待される。今後、中核拠点としてのハブ機能をいっそう發揮し、臨床現場から望まれる技術を確立し、我が国から世界水準で高い医療の創成に繋がる成果が創出されることの強力な牽引が期待される。