

令和8年度「創薬ベンチャーエコシステム強化事業／創薬ベンチャー公募」中間評価報告書

1. 中間評価を実施した課題

課題名	CRISPR-Cas3 ゲノム編集技術を用いた原発性免疫不全症に対する造血幹細胞移植治療法の開発
研究開発機関	C4U 株式会社
リード認定 VC	DCI パートナーズ株式会社

2. 本課題の概要

原発性免疫不全症は、遺伝子の変異により生まれつき免疫システムの一部に異常があることで細菌やウイルスへの抵抗力が低下し、重い感染症を繰り返しやすい疾患の総称です。根治治療として同種造血幹細胞移植が行われていますが、移植片対宿主病（GvHD）などの移植後合併症による死亡例も少なからずあることから、その実施可否や実施時期については統一した見解がないのが現状です。

そこで、患者自身の造血幹/前駆細胞（HSPCs）を採取し、国産のゲノム編集技術である CRISPR-Cas3 システムを使って原因となる遺伝子変異を修復したのちに、正常化した HSPCs を患者に戻す治療法の開発を計画しました。これにより、GvHD の発生を懸念することなく、生涯に一度の治療で健常人と同じレベルまで免疫能を正常化する革新的な治療法（ex vivo 遺伝子治療用製品）が提供できます。本品の対象となる疾患は希少疾患で患者数が少ないものの、その革新性の高さから高薬価が期待でき、十分な収益を期待できます。

3. 評価結果

ステージゲート通過

【評価コメント】 ゲノム編集に用いるツールモダリティが最終決定され、ステージ1における主たる目標は達成されたことから、ステージゲートを通過と評価されました。しかし、評価時に指摘されたいくつかの課題を次ステージにおいて早期に解決する必要があります。また、研究開発計画進行の判断基準も明示することが望まれます。

以上