

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 研究開発課題一覧

(令和8年8月20日現在)

※敬称および国立大学法人等の表記は省略

再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点

研究開発課題名	代表者	代表機関	役職
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	高橋 淳	京都大学	教授

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）

研究開発課題名	代表者	代表機関	役職
Pompe 病の根治を目指した新規遺伝子治療法の開発研究	小林 博司	東京慈恵会 医科大学	教授
糖尿病根治を目指した MYCL によるリプログラミングを介した膵島再生医療の開発	山田 泰広	東京大学	教授
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	横尾 隆	東京慈恵会 医科大学	教授
難治性肝疾患に対する画期的な小児ゲノム編集治療の創出	大森 司	自治医科大学	教授
機能強化型肝臓オルガノイドを用いた UTOpiA システムの開発	武部 貴則	大阪大学	教授
ニューロリハビリテーション療法を併用した慢性期脊髄損傷に対する細胞移植治療の開発	中村 雅也	慶應義塾大学	教授
CRISPR-Cas3 mRNA-LNP モダリティによる安全な in vivo ゲノム編集治療基盤の構築	真下 知士	東京大学	教授
造血幹細胞増幅技術を基盤とした改変造血・免疫細胞の創出と応用	山崎 聡	東京大学	教授
臨床試験を目指した福山型筋ジストロフィーの筋・脳病変を同時に治療する AAV 遺伝子治療法の開発	戸田 達史	国立精神・神 経医療研究セ ンター	病院長
多発性硬化症治療を目指した miRNA 分泌型遺伝子細胞治療薬の開発	朝長 啓造	京都大学	教授
難治性がんに対する次世代ウイルス療法の研究開発	中村 貴史	鳥取大学	教授
先天性 GPI 欠損症の遺伝子治療に関する研究開発	村上 良子	大阪大学	特任教授
実用化に向けた次世代抗がんヘルペスウイルスの非臨床と製造工程開発	藤堂 具紀	東京大学	教授

徐脈性不整脈に対する高品質心臓ペースメーカーカオルガノイド移植治療法の開発	遠山 周吾	藤田医科大学	教授
間葉系幹細胞治療用中空糸膜カラムの実用化	古橋 和弘	東海国立大学 機構 名古屋大学	講師
重症 1 型糖尿病の革新的根治に資する in vivo 細胞運命変換技術開発	松本 征仁	順天堂大学	教授
心筋リプログラミング AAV ベクターによる革新的心臓再生遺伝子治療の開発	家田 真樹	慶應義塾大学	教授
膝関節軟骨損傷に対する再生治療非臨床 PoC の獲得：rTR によるゲノム編集 iPS 細胞由来軟骨の開発	妻木 範行	大阪大学	教授
肝線維化を標的とした新規細胞外小胞医薬品の開発	松崎 潤太郎	慶應義塾大学	教授
遺伝子改変 iPS 細胞由来神経前駆細胞を用いた脊髄損傷再生医療等製品の非臨床 PoC 取得と治験基盤構築	岡野 栄之	慶應義塾大学	教授
肺がん術後再発ゼロを目指した臨床試験用 mRNA-LNP 製剤の開発	中面 哲也	国立がん研究センター	分野長
顕性型網膜色素変性に対する自己消化型単一ベクターによる変異非依存性ノックイン型ゲノム編集治療製剤の開発	前田 亜希子	神戸市市民病院機構神戸市立神戸アイセンター病院	副センター長
持続可能な BCMA 反応性 CAR-T 細胞応答を誘導する新規細胞医薬の開発	植村 靖史	国立がん研究センター	ユニット長
難治性てんかんに対する遺伝子治療法の研究開発	平井 宏和	群馬大学	教授
血液脳関門通過技術を搭載したアデノ随伴ウイルスベクターによる GM1 ガングリオシドーシスに対する静脈投与遺伝子治療法の開発	松島 小貴	東京慈恵会医科大学	講師

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）

研究開発課題名	代表者	代表機関	役職
アクシオロイドを用いたヒト脊髄発生・疾患の in vitro 3 次元モデル	ALEV CANTAS	京都大学	教授
ベクターフリーシステムによるヒト線維芽細胞由来インスリン産生細胞の最適化と応用	石坂 幸人	国立健康危機管理研究機構 研究所	副所長・部長
遺伝子発現の光操作技術を用いたヒト iPS 細胞の選択的ニューロン分化手法の開発	今吉 格	京都大学	教授

骨髓造血再生期に学ぶ造血幹細胞の自己複製分裂誘導法の開発	梅本 晃正	熊本大学	特任准教授
転写機構改変による自己複製能を持つ CAR-NK 細胞の開発	籠谷 勇紀	慶應義塾大学	教授
加齢関連炎症性皮膚疾患に対する幹細胞標的治療法の開発	佐田 亜衣子	九州大学	教授
胎盤構成細胞の時空間的動態変化の解明とトロホブラスト幹細胞の機能回復機構の確立	高島 康弘	京都大学	教授
心筋細胞と心外膜細胞を用いた心臓オルガノイドによる心筋組織再建治療の開発	吉田 善紀	京都大学	准教授
血管網を有するヒト多能性幹細胞由来肺胞組織の構築	池尾 聡	大阪公立大学	特任助教
移植治療を目指した iPS 細胞由来ヒト骨格筋組織作製のための基盤技術の開発	内村 智也	京都大学	特定助教
難治性うつ病の遺伝子治療に関する研究開発	奥山 輝大	東京大学	教授
小腸オルガノイドを用いた再生医療へ向けた基盤的研究	杉本 真也	慶應義塾大学	助教
ヒト軟骨前駆細胞を利用した気道狭窄疾患再生医療等製品の開発に向けた基礎研究	高尾 知佳	岡山大学	講師
iPS 細胞由来唾液腺オルガノイド移植による口腔乾燥症の治療法開発	田中 準一	昭和医科大学	准教授
栄養膜細胞への特異的遺伝子操作による着床制御法の開発	伊川 正人	大阪大学	教授
次世代抗体／可溶性受容体の遺伝子発現型・腫瘍溶解性ウイルスの新技术開発による新モダリティと革新的がん治療シーズの創出	小賤 健一郎	鹿児島大学	教授
造血幹細胞医学のアップデートのための三位一体型アプローチ	田久保 圭誉	東北大学	教授
Perturbation Atlas を用いたヒト血管内皮症候群治療基盤の開発	武部 貴則	大阪大学	教授
Aβ凝集体の細胞内分解によるアルツハイマー病遺伝子治療法の開発	星 美奈子	京都大学	特定教授
国産ゲノム編集 Cas3 の高機能改変による網膜疾患治療法開発	星野 温	京都府立医科大学	講師
iPS 細胞由来複合腸組織シートを用いた大型機能性ヒト腸管グラフト製造法の開発	水谷 知裕	東京科学大学	講師

クリスタリン網膜症に対する国産レンチウイルスベクターの開発	村上 祐介	九州大学	准教授
機能化 mRNA の吸入による呼吸器系での持続的抗体産生システムの開発	内田 智士	東京科学大学	教授
大型動物の体内環境を用いたヒト iPS 細胞から臓器の再生	長船 健二	京都大学	教授
造血幹細胞における CRISPR/Cas を使わない新しい精密ゲノム編集技術の開発	合山 進	東京大学	教授
光遺伝学による視覚疾患治療のための遺伝子治療薬研究	角田 聡	名古屋工業大学	特任准教授
幹細胞より再構築した腎臓の臓器内流れ形成による成熟化	萩原 将也	理化学研究所	理研白眉研究チームリーダー
ATL 細胞への革新的送達技術の確立と治療応用	安永 純一郎	熊本大学	教授
メモリー幹細胞性を有する T 細胞療法の開発	吉村 昭彦	東京理科大学	教授
iPS 細胞由来 NKT 細胞療法を用いた新規免疫治療の開発	青木 孝浩	千葉大学	助教
治療抵抗性膠芽腫に対する複合ウイルス遺伝子治療の開発	大谷 理浩	岡山大学	研究准教授
世代間伝搬性エピゲノム異常の修復技術の開発	高橋 悠太	熊本大学	特任准教授
炎症性腸疾患研究のための腸管神経叢を有する腸管モデルの開発	出口 清香	東京科学大学	講師
心不全制御因子を標的とする心不全治療法の開発	内藤 瑞	東京理科大学	講師
腫瘍特異的な炎症誘導能を搭載したヒトマクロファージ医薬の開発	新居 輝樹	九州大学	助教
脱分化型肝細胞を利用した糖尿病の新規治療法の開発	三浦 静	九州大学	准教授
がん精巢抗原-TCR ペア網羅的探索による新規免疫細胞療法の開発	村田 憲治	札幌医科大学	助教
遺伝子編集造血幹細胞に対する迅速機能予測システムの開発	余語 孝夫	東京大学	助教
CXCR4 を用いた血液腫瘍の長期監視を可能にする CAR-T エンジニアリング	石川 文彦	東京科学大学	教授

二重特異性エンゲージャーを用いた統合プラットフォームによる肝類洞内皮細胞特異的遺伝子送達技術の開発	大森 司	自治医科大学	教授
ヒト人工染色体（HAC）搭載ステルス型重武装・多重特異性ヘルパー/キラーiCAR-T 細胞による難治性疾患治療の開発	金子 新	京都大学	教授
高安定型誘導性制御性 T 細胞による抗原特異的移植免疫制御法の開発	川上 竜司	京都大学	特定助教
遺伝子発現調整システムによるレット症候群の AAV 遺伝子治療開発	小島 華林	自治医科大学	准教授
臓器移植を目的としたヒト細胞による心血管系補完動物の開発	中内 啓光	東京科学大学	特別荣誉教授
筋再生促進と病的ニッチ制御によるゲノム編集治療戦略	堀田 秋津	京都大学	教授
Dual-Specific Phantom Splice Neoantigen を標的にした mRNA がんワクチン開発	吉見 昭秀	国立がん研究センター	分野長
増殖可能マクロファージ（pMAC）を基盤とする革新的 CAR マクロファージ療法の開発	植村 靖史	国立がん研究センター	ユニット長
生体内リプログラミングによる MASH 病態改善効果の解明	鈴木 淳史	九州大学	教授
In vivo CAR-T 誘導による自己免疫疾患治療技術の研究開発	玉田 耕治	山口大学	教授
オフターゲットを解決し 1 遺伝病 1 ベクター治療を実現した「Cas9 nickase-cDNA まるごとノックイン」によるゲノム編集プラットフォームの構築	中西 友子	順天堂大学	准教授
iPS 細胞由来胸腺髄質上皮細胞を用いた中枢性自己寛容誘導技術の確立	濱崎 洋子	京都大学	教授
介在板障害を修復し心不全重症化を予防する遺伝子治療開発	肥後 修一朗	大阪大学	准教授
腫瘍溶解性ヒト 35 型アデノウイルスの開発基盤研究	水口 裕之	大阪大学	教授
細胞膜上分子改変技術を用いた稀少血液型赤血球製剤の大量生産技術開発	三原田 賢一	熊本大学	特別招聘教授
眼・中枢神経アミロイドーシスを対象とした CRISPR-Cas3 によるアレル特異的 in vivo ゲノム編集技術の開発	石田 紗恵子	東京大学	准教授
高機能型近位尿管オルガノイド開発による再生腎組織の社会実装	太口 敦博	千葉大学	准教授
"Plug-in"型移植デバイスによる肺再生	竹内 昌治	東京大学	特任教授

非凍結低温保存『冷眠』技術の確立と工程横断型細胞死制御による複合網膜移植の実装研究	田中 佑治	東北大学	特任准教授
「可塑性」「機能性」を持った次世代人工血管の開発	豊原 敬文	東北大学	教授
人工染色体導入による機能付加型自家培養表皮を用いた代謝性疾患治療法の開発	難波 大輔	鳥取大学	教授
老化細胞に対する抗原特異的 T 細胞応答を基盤とした加齢関連疾患の疾患修飾治療戦略の確立	南野 徹	順天堂大学	主任教授
4 倍体 iPS 細胞由来成熟心筋細胞移植による心不全治療	宮岡 佑一郎	東京都医学総合研究所	プロジェクトリーダー
新規組織環境に着目した幹細胞制御メカニズムの解明	一條 遼	京都大学	研究員
逆行性 AAV を応用した神経特異的・オンデマンド型の癌性疼痛遺伝子治療システムの研究開発	井上 健児	東北大学	講師
安全・高効率な汎用型 in vivo 一塩基編集治療基盤の開発	大輪 智雄	国立精神・神経医療研究センター	室長
遺伝子治療薬の細胞内輸送ボトルネックを可視化するラベルフリー・超高感度定量プラットフォーム	川井 隆之	徳島大学	教授
大腸上皮幹細胞早期老化機構の解明と腸管疾患制御基盤の構築	小山 明	京都大学	特定拠点助教
多層的解析に基づく細胞特異的制御配列を用いた心臓線維芽細胞標的型遺伝子治療 AAV ベクターに関する研究開発	貞廣 威太郎	慶應義塾大学	専任講師
高 IgE 症候群に対する遺伝子治療開発のための病態基盤解明	仙波 雄一郎	九州大学	助教
完全合成エクソソームを用いた遺伝子治療技術の開発	真栄城 正寿	北海道大学	教授
G4RNA による孤発性神経変性メカニズム解明および革新的治療法の探索	矢吹 悌	熊本大学	准教授
高頻度遺伝子多型に連鎖する多様な病因変異を治療可能とする新しいアレル特異的ゲノム編集治療の開発	山田 和久	名古屋大学	病院助教

疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

研究開発課題名	代表者	代表機関	役職
疾患特異的 iPS 細胞バンク事業	中村 和昭	理化学研究所	室長
iPS 細胞を用いた疾患研究推進のための共同研究支援事業	齋藤 潤	京都大学	教授

疾患特異的 iPS 細胞を用いたアルツハイマー病初期の青斑核ノルアドレナリン神経の変性機序解明	飯島 浩一	国立長寿医療研究センター	部長
iPS 細胞を用いた多系統萎縮症の病態に関する研究開発	尾崎 心	国立精神・神経医療研究センター	室長
iPS 技術で解明するミクログリア介在アルツハイマー病態	高鳥 翔	東京大学	助教
代謝的成熟性を獲得した iPS 心筋細胞を利用した遺伝性肥大型心筋症の心筋エネルギー代謝異常の解析	塚本 蔵	兵庫医科大学	主任教授
iPS 細胞を用いた小児特発性ネフローゼ症候群の NPHS1 リスクアレルに関する病態機序解明研究	堀之内 智子	神戸大学	講師
HTLV-1 関連脊髄症 (HAM) の治療開発を加速する患者特異的 iPS 細胞を用いた次世代神経病態モデルの開発	山野 嘉久	聖マリアンナ医科大学	主任教授
ALS の“制御層”破綻を標的化する：ALS 制御異常の統合理解と Non-genome 編集創薬	岡野 栄之	慶應義塾大学	教授
高解像局所オミクスとエピゲノム編集による顔面肩甲上腕型筋ジストロフィーの分子病態解明とその修復	櫻井 英俊	京都大学	准教授
iPS 細胞株の不均一性問題を解決するための AI 解析基盤の構築	中村 和昭	理化学研究所	室長
疾患特異的オルガノイドと AI の統合による網膜色素変性の病態解明とゲノム変異非依存的治療法の開発	西田 幸二	大阪大学	教授
疾患特異的 iPS 細胞を用いたスプライシング異常型拡張型心筋症の心筋特異的病態機構解明と創薬評価基盤の構築	朝野 仁裕	国立循環器病研究センター	部長
抗精神病薬応答性の生物学的層別化に基づく統合失調症・双極症創薬基盤の構築：ポリジェニックリスク指標 iPS 細胞をもちいた腹側線条体回路機能解析	石川 充	藤田医科大学	准教授
iPS 細胞由来腎オルガノイドを用いた Alport 症候群に対する創薬	長船 健二	京都大学	副所長/教授
次世代染色体工学による巨大ヒト疾患ゲノム構造の in vivo 再構成と発症機構解析	香月 康宏	鳥取大学	教授
早老症患者 iPS 細胞を用いた血管老化機序の解明と治療法開発	豊原 敬文	東北大学	准教授
集合管オルガノイドの成熟プロトコール革新による腎性尿崩症の病態解明	西中村 隆一	熊本大学	教授
染色体単位の遺伝子量補償によるダウン症候群の創薬基盤構築	橋詰 令太郎	三重大学	講師
モザイク病態の制御を指向した X 連鎖 PCDH19 ヘテロ変異 iPS 細胞による神経ネットワーク解明と治療基盤創出	福田 篤	東海大学	准教授

ミトコンドリア糖尿病 iPS モデルを用いたヘテロプラスミー依存的核 ーミトコンドリア制御機構の解明と治療戦略の構築	山内 敏正	東京大学	教授
疾患特異的 iPS 細胞由来心房特異的立体心筋組織（EHT）を用いた若 年性および加齢性心房細動の病態基質解明と創薬基盤構築	吉田 善紀	京都大学	准教授
疾患特異的 iPS 細胞を用いたレーベル遺伝性視神経症の病態再現と一 酸化窒素シグナルを標的とした発症予防戦略の構築	上田 香織	神戸大学	特定助教
iPS 細胞由来骨格筋オルガノイドによる先天性筋強直性ジストロフィー ーの筋発生プログラム破綻機構の解明	内村 智也	京都大学	特定拠点助 教
NMD 回避型 SEMA6B 短縮タンパク質に起因する PME11 の病態解明 と変異アレル特異的 ASO 創薬基盤の構築	柴 直子	信州大学	助教
非翻訳領域リピート病に対する核酸医薬・遺伝子治療法開発	中村 治子	横浜市立大学	助教
疾患特異的 iPS 細胞を用いた顔面肩甲上腕型筋ジストロフィーの分子 病態解明および創薬開発	平田 祐介	東北大学	准教授
パントテン酸キナーゼ関連神経変性症の疾患特異的 iPS 神経細胞が導 くアラキドン酸依存性炎症・フェロトーシス機構の創薬標的化	藤巻 基紀	筑波大学	講師

再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

研究開発課題名	代表者	代表機関	役職
アカデミア用 GMP 準拠ウイルスベクター製造・提供体制の基盤整備と人材 育成	岡田 尚巳	東京大学	教授
細胞治療及び遺伝子治療を含む広範な再生医療研究の社会実装加速化に資す る伴走支援	妹尾 浩	京都大学	機構長・教 授
再生・細胞医療・遺伝子治療開発における知財と事業化の支援課題	長村 文孝	東京大学	教授
グローバル市場・規制を見据えた細胞・遺伝子治療の早期事業化戦略支援	名井 陽	大阪大学	教授
研究者に伴走し出口視点で事業化戦略を支援する産学連携プラットフォーム の構築	土井 俊彦	国立がん研究 センター	病院長
細胞治療の社会実装につなげる非臨床 POC 獲得のための細胞製品製造支援	長村 登紀子	東京大学	准教授
遺伝子治療研究の実用化促進に向けた研究者製造施設マッチング整備	岡田 尚巳	東京大学	教授
再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化加速に向けたウイルスベクター製 造・提供基盤整備に関する研究開発	岡崎 利彦	大阪大学	病院教授
再生・細胞医療・遺伝子治療研究に関する倫理・社会共創課題の解決支援と 調査研究	神山 圭介	慶應義塾大学	教授