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 8 年度実施）
事後評価結果報告書

研究開発課題名	SOD1 変異 ALS に対する遺伝子編集治療法の開発
代表機関名	京都大学
研究開発代表者名	井上　治久
全研究開発期間	令和 5 年 6 月 19 日から令和 8 年 3 月 31 日

【評価コメント】

研究開発課題では、家族性の筋萎縮性側索硬化症（ALS）の原因遺伝子である変異型 SOD1、特に日本に患者集積がある変異型の遺伝子治療薬の開発として、遺伝子編集による遺伝子治療の非臨床 POC 獲得を目指して研究開発が実施された。遺伝子治療ベクターの変異遺伝子修復効率の最適化、ALS モデルマウス及び ALS モデルブタの構築を行い、ヒト iPS 細胞および ALS モデルマウスにおいて、遺伝子治療ベクターによる遺伝子編集効果が示された点は成果として一定の評価ができる。一方、モデルマウスでの遺伝子修復効率は約 1.2%であり、モデルブタでは遺伝子編集は検出されていないことから、運動機能改善等の有効性評価も含め、非臨床 PoC の取得に向けてさらなる研究開発とデータの蓄積が求められる。今後、有効性の評価項目の設定やベクター製造工程、品質管理方法等、課題を整理したうえで、更なる改良・検討が行われることを期待する。