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	遺伝性免疫異常症に対する新規遺伝子修正治療の研究開発
代表機関名	国立大学法人東京科学大学
研究開発代表者名	森尾 友宏
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】

本研究開発課題では、遺伝性免疫異常症に対する造血細胞移植に代わる根治的治療として、造血幹細胞の ex vivo 遺伝子治療法開発を目指して研究開発が実施された。当初計画していた GATA2 異常症モデルマウスやヒト化マウスでの GATA2 異常症の表現型は再現されず、GATA2 異常症から IKAROS 欠損症へ対象疾患を変更する大幅な計画修正が生じた。IKAROS 欠損症に対して、ベースエディター法による遺伝子編集治療のマウスモデルでの成果が得られた点は評価できる。一方、NICER 法による優位な遺伝子編集治療効果は認められなかった点に関して、増殖優位性の確認等を含め、遺伝子編集法の更なる検討が行われることを期待する。重症型 IKAROS 欠損症を対象とした後続課題が採択され、研究を継続していることから、今後、実用化に向けた研究の進展を期待する。