

ライフサイエンス分野に関する 研究開発課題の中間評価結果②

令和8年1月
科学技術・学術審議会
研究計画・評価分科会

第13期科学技術・学術審議会研究計画・評価分科会委員等名簿

- 相澤 彰子 国立情報学研究所 教授
- 五十嵐 仁一 公益社団法人日本工学アカデミー 副会長
- 岩井 一宏※ 京都大学プロボスト・理事・副学長
- 上田 良夫※ 追手門学院大学理工学部教授
- 岡本 美津子 東京藝術大学大学院映像研究科 教授
- 上村 靖司 長岡技術科学大学工学研究科機械系教授
- 川辺 みどり 東京海洋大学学術研究院 教授
- 菅野 了次 東京科学大学総合研究院全固体電池研究センター長、特命教授
- 久保田 孝 明治大学理工学部 特任教授
- 佐々木 久美子※ 株式会社 KUMI Lab 代表取締役
- 田中 明子 国立研究開発法人産業技術総合研究所 地質調査総合センター
地圏資源環境研究部門 招聘研究員
- 土屋 武司※ 東京大学大学院工学系研究科教授
- 富田 章久 国立研究開発法人情報通信研究機構量子 ICT 協創センター主管研究員
- 永井 由佳里 北陸先端科学技術大学院大学 理事・副学長
- 中北 英一※ 京都大学総長特別補佐・名誉教授、日本気象協会常勤顧問
- 長根 裕美 千葉大学 大学院社会科学研究院 教授
- 原田 尚美※ 東京大学大気海洋研究所 教授
- 本郷 尚 株式会社三井物産戦略研究所 国際情報部 シニア研究フェロー
- ◎水本 哲弥 独立行政法人日本学術振興会 上席参与
- 宮澤 理稔 京都大学防災研究所 教授
- 明和 政子 京都大学大学院教育学研究科 教授
- 山崎 直子※ 一般社団法人 Space Port Japan 代表理事
- 山本章夫 名古屋大学大学院工学研究科教授

◎：分科会長、○分科会長代理

(50音順)

※本評価には参加していない

科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会
ライフサイエンス委員会（第13期）委員名簿

（敬称略、50音順）

- 天谷 雅行 慶應義塾大学医学部教授、
理化学研究所生命医科学研究センター センター長
- 有田 正規 国立遺伝学研究所教授
- ◎ 岩井 一宏 京都大学プロボスト・理事・副学長
- 大津 敦 公益財団法人がん研究会研究本部本部長、
公益財団法人がん研究会がんプレシジョン医療研究センター所長
- 大曲 貴夫 国立健康危機管理研究機構国立国際医療センター副院長、
国際感染症センター センター長
- 岡田 随象 東京大学大学院医学系研究科教授
- 風間 北斗 国立研究開発法人理化学研究所脳神経科学研究センターチームディレクター
- 鎌谷 洋一郎 東京大学大学院新領域創成科学研究科教授
- 上村 みどり 特定非営利活動法人情報計算化学生物学会 CBI 研究機構
量子構造生命科学研究所長
- 木下 賢吾 東北大学大学院情報科学研究科教授、
東北大学東北メディカル・メガバンク機構副機構長
- 熊ノ郷 淳 大阪大学総長
- 倉永 英里奈 京都大学大学院薬学研究科教授
- 坂田 麻実子 筑波大学医学医療系血液内科教授、
トランスボーダー医学研究センター教授
- 朔 啓太 国立研究開発法人国立循環器病研究センター循環動態制御部研究室長
- 桜井 公美 プレモパートナー株式会社代表取締役
- 鹿野 真弓 東京理科大学薬学部嘱託教授
- 杉本 亜砂子 東北大学理事・副学長（研究担当）、
東北大学大学院生命科学研究科教授
- 滝田 恭子 株式会社読売新聞東京本社執行役員メディア局長
- 武部 貴則 東京科学大学総合研究院教授、大阪大学大学院医学系研究科教授
- 畠 賢一郎 株式会社ジャパン・ティッシュエンジニアリング代表取締役社長執行役員
- 坂内 博子 早稲田大学理工学術院教授
- 宮田 敏男 東北大学副理事（共創研究担当）・大学院医学系研究科教授
- 森尾 友宏 東京科学大学理事・副学長（国際担当）

◎：主査 ○：主査代理

令和8年1月現在

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムの概要

1. 課題実施期間及び評価時期

令和5年度～令和9年度

中間評価 令和7年度、事後評価 令和9年度（予定）

2. 研究開発目的・概要

・目的

再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に向けて、本分野の研究開発及び基盤整備を行い、次世代医療につながる画期的なシーズの創出や臨床応用・企業への導出を促進し、アンメットメディカルニーズへの対応及び我が国の本分野における国際競争力の維持・向上を目指す。

・概要

再生・細胞医療・遺伝子治療分野の融合研究、次世代 iPS 細胞の開発、オルガノイドを活用した研究等の革新的な研究開発等を推進するとともに、これらの研究に必要な人材育成、基盤整備及び実用化に向けた規制面・倫理面・知的財産面等の支援を行う。

3. 研究開発の必要性等

<必要性>

世界における再生・細胞医療・遺伝子治療分野の研究開発は活発化しており、今後の本分野の市場拡大も見込まれているところ、我が国が培ってきた本分野の優位性を維持・向上させ、世界に先駆けて患者に新たな医療を届けるためにも、引き続き将来の実用化を見据えた基礎的・基盤的な研究開発の強化が必要である。

<有効性>

これまで再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム（以下、「本事業」という。）により様々な研究チームのハブ機能と人材育成を担う再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点（以下、「中核拠点」という。）を設置し、その中で革新的な基盤的研究に加え遺伝子治療研究との融合研究や、実用化を意識した研究早期からの事業化戦略策定支援、企業連携等により、再生・細胞医療・遺伝子治療の発展に貢献してきた。今後も今までにない新たな切り口からの研究成果の創出や研究成果の実用化促進が期待できる。

<効率性>

本事業では、規制面・倫理面・知的財産面の伴走支援や事業化戦略策定を研究初期から実施し、臨床応用・企業導出を促進してきた。製造機関とのマッチングで技術課題を解消し、効率的な実用化を支援している。中核拠点において若手研究者の交流を強化し、バーチャルラボによる連携により研究効率を向上させている。

4. 予算（執行額）の変遷

中間評価
実施年度

年度	R5(初年度)	R6	R7	翌年度以降	総額
当初予算	9,155 百万	9,155 百万	9,186 百万	9,201 百万	
補正予算	1,040 百万	2,143 百万	-	-	-
調整費	78 百万	794 百万	486 百万	-	-
執行額	10,273 百万	12,092 百万	9,672 百万	-	-

5. 課題実施機関・体制

- 詳細は別添資料を参照。

6. その他

本事業は日本医療研究開発機構（AMED）の再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトの中で、再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に向けて、厚生労働省及び経済産業省と連携して切れ目のない支援を実施している。

中間評価票

(令和8年1月現在)

1. 課題名 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム

2. 関係する分野別研究開発プラン名と上位施策との関係

プラン名	ライフサイエンス分野研究開発プラン
プランを推進するにあたっての大目標	健康・医療・ライフサイエンス分野研究開発プラン（施策目標9-3） 概要：「生命現象の統合的理解」を目指した研究を推進するとともに、「先端医療の実現のための研究」等の推進を重視し、国民への成果還元を抜本的に強化する。
プログラム名	再生・細胞医療・遺伝子治療プログラム 概要：再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床研究、疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病の病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築等を行う。また、遺伝子治療について、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発を行う。さらに、これらの分野融合的な研究開発を推進する。
上位施策	<ul style="list-style-type: none"> ● 第6期科学技術・イノベーション基本計画（令和3年3月26日閣議決定） ● 統合イノベーション戦略2025（令和7年6月6日閣議決定） ● 健康・医療戦略（令和7年2月18日閣議決定） ● 医療分野研究開発推進計画（令和7年2月18日健康・医療戦略推進本部決定） ● ワクチン開発・生産体制強化戦略（令和3年6月1日閣議決定） ● バイオエコノミー戦略（令和6年6月3日統合イノベーション戦略推進会議決定）

プログラム全体に関連する アウトプット指標	過去3年程度の状況		
	R4年	R5年	R6年
企業へ導出される段階を目指す研究課題数（累計）	-	5	6

* 前身事業である「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」の成果を含む。

プログラム全体に関連する アウトカム指標	過去3年程度の状況		
	R4年	R5年	R6年
企業に導出される段階に至った研究課題数（累計）	-	8	9

* 前身事業である「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」の成果を含む。

3. 評価結果

(1) 課題の進捗状況

① 課題の概要

再生・細胞医療・遺伝子治療分野は、革新的な治療手段として、世界的に研究開発が活発化しており、アンメットメディカルニーズに応える先端医療として大きな期待が寄せられている。加えて、今後、国際的な市場規模の拡大が見込まれるなど、医療のみならず産業競争力の観点からも極めて重要な分野である。

我が国では、本分野は「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」において、「再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト」として重点的に位置づけられ、基礎から実用化までの一貫した研究開発を、オールジャパン体制のもとで戦略的に推進してきた。

こうした背景の下、本事業では、再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化を一層加速させるべく、基礎的・基盤的な研究開発を実施してきた。前身事業である「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（平成 25 年度～令和 4 年度）を含め、本事業では、科学的・社会的意義の高い成果が数多く創出され、さらにその成果をもとに、世界に先駆けて複数の疾患で再生医療が臨床段階へ移行している。

② 課題の進捗

1. 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点

再生・細胞医療・遺伝子治療研究分野で世界を先導する革新的な研究を推進する拠点として、次世代 iPS 細胞の開発、改良型 ES 細胞の開発、改変型アデノ随伴ウイルス（AAV：Adeno-Associated Virus）ベクター、閉鎖系自動培養装置の稼働等の先端的な基盤技術の開発を着実に実施している。また、代表機関と分担機関が連携し、他機関への成果物の供与、若手研究者の育成やキャリアパス支援、アウトリーチ活動等を実施している。

2. 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題

再生・細胞医療・遺伝子治療分野において次世代の医療の実用化につながる革新的なシーズを創出するため、基礎・応用研究から非臨床 PoC（Proof of Concept）取得段階までを対象とした研究開発を実施している。

「基礎応用研究課題」では、新規の心臓再生遺伝子治療法を開発するなど、独創性・新規性の高い最先端の基礎・応用研究が実施されている。また、若手枠を設定し、研究者の育成促進及び本分野の裾野拡大を図っている。令和 7 年度からは、萌芽的シーズの発掘・育成につながる挑戦的な研究開発を推進すべく、新たに挑戦型の公募を開始し、革新的な研究開発の支援を強化している。

「非臨床 PoC 取得研究課題」では、既に基礎的な研究実績のあるシーズの非臨床 PoC 確立を支援しており、令和 5 年度から 6 年度においては計 21 件の非臨床 PoC 取得実績となっている。

3. 疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

難病等の患者由来の疾患特異的 iPS 細胞等を用いた疾患発症メカニズムの解明、病態解析技術の高度化、創薬研究を実施している。各課題において多様な疾患を模した iPS 細胞が作製されており、順調に研究が進捗している。また、疾患付随情報やゲノム情報等が充実した疾患特異的 iPS 細胞バンクを整備し、その利活用が進んでいる。

4. 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

基礎研究から臨床試験段階へ早期に橋渡しできるよう、細胞やベクターの製造支援を実施している。また、実施機関や他の支援課題と連携し、それぞれの技術領域や疾患領域の専門家による規制面・倫理面・知的財産面からの伴走支援を実施し、実用化を見据えた切れ目のない支援を実施している。

上記のとおり、各サブプログラムにおいて順調に各課題が進捗している。

(2) 各観点の再評価

<必要性>

評価項目	評価基準		評価項目・評価基準の適用時期
科学的・技術的意義	定性的	革新性、発展性のある研究成果が創出されているか	前・中
社会的・経済的意義	定性的	国際競争力の向上に貢献しているか、適切な知的財産権の取得を実施しているか	前・中

世界における再生・細胞医療・遺伝子治療分野の研究開発が活発化している中、本分野において我が国は優位性と国際競争力を有しており、引き続き実用化を目指した基礎研究の推進を継続する必要がある。

我が国の優位性を維持し、本分野を発展させるため、本事業では、再生・細胞医療・遺伝子治療研究分野で世界を先導する革新的な研究を推進するハブ機能として中核拠点を設置し、分野内外の様々な研究者と幅広く連携した研究ネットワークを構築している。本拠点において、樹立効率が良く、細胞株間のばらつきが無く、分化効率の優れた次世代 iPS 細胞の開発や、iPS 細胞の自動製造技術に関する研究開発を実施するなど、先端的・革新的な基盤技術の開発が着実に進展している。

また、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）では、未だ確立された治療法の存在しない、左室拡張障害や心臓線維化による、左室収縮能の保たれた心不全のモデルマウスを用いて、ダイレクトリプログラミングによる心臓再生遺伝子治療法を開発するなど、今後の臨床応用が期待され、革新性・発展性のある研究結果を創出していると評価できる。

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）においては、AMED 調整費による機動的な予算配分の枠組みを活用して、国産の遺伝子編集技術である CRISPR-

Cas3 と mRNA-LNP (mRNA-Lipid nanoparticle) デリバリー技術を組み合わせた、新規の in vivo 遺伝子治療技術の開発を目指し、効率的かつ安全なゲノム編集法の確立に成功するなど成果が創出されている。国産の遺伝子治療技術を用いた研究開発基盤の社会実装が期待されており、国際競争力の向上に貢献している。

再生・細胞医療・遺伝子治療実用化支援課題においては、研究成果を実用化につなげるため、社会実装に必要な規制・法令対応、周辺特許等についてのヒアリング・面談の実施や研究開発フェーズ表の作成支援等の取組を通じて、適切な知的財産権の取得や実用化戦略策定支援を実施した。また、研究基盤の整備としてアカデミアによる製造プロセス開発や初期治験の円滑化・加速化を目的とし、ベクター製造支援の充実強化としてアカデミア向け GMP (Good Manufacturing Practice) 準拠非臨床用ウイルスベクター製造・提供の環境を整備した。加えて、独自の製造方法についての特許を出願するなど、知的財産権の取得を適切に実施している。

以上により、本事業の必要性は高いと評価できる。

<有効性>

評価項目	評価基準		評価項目・評価基準の適用時期
新しい知の創出への貢献	定性的	難病等の病態解明や創薬につながる成果が創出されているか	前・中
実用化や社会実装に至る全段階を通じた取組	定量的	企業へ導出される段階を目指す研究課題数 企業へ導出される段階に至った研究課題数	前・中
	定性的	研究成果の実用化に貢献しているか	前・中

中核拠点においては、樹立効率が良く、細胞株間のばらつきが無く、分化効率の優れた次世代 iPS 細胞の開発を実施している。代表機関において、樹立に用いる体細胞や作製方法、維持培地等の検討を行い、分化誘導効率やその品質の評価を行っている。次世代 iPS 細胞の作製技術については令和 5 年度に特許を出願するなど、先端的な基盤技術の開発が着実に進展しており、創薬等につなげるため研究基盤整備を推進している。

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）においては、肺の再生を目指した、ヒト多能性幹細胞と異種移植モデルを活用した基盤技術の開発に向けて成果などが得られており、創薬につながる成果を創出していると評価できる。

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）においては、肝移植以外に有効な治療法がない重篤な病態である慢性肝不全急性増悪の治療として、低免疫原性 iPS 細胞を原料とした機能強化型肝臓オルガノイドを組み込んだ肝機能補助用体外循環システムの開発に向けてシステムの有用性を確認するなど、再生医療等製品の実用化につながる成果を創出していると評価できる。

疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態解明・創薬研究課題においては、筋萎縮性側索硬化症、パーキンソン病、前頭側頭葉変性症、プラダー・ウィリー症候群などの難病や希少疾患に

において、疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態解明、治療標的の遺伝子同定、治療候補薬の探索が実施されている。iPS 細胞の利活用を促進するための病態解析技術の高度化及び効率化等も進められ、創薬につながる成果を創出していると評価できる。疾患特異的 iPS 細胞バンクにおいては、品質管理、拡大培養及び速やかな提供等のための体制が構築されている。当初の計画どおり、年間 50 株の iPS 細胞を即時提供可能な状態に整備している（令和 5 年度から令和 9 年度の研究期間で 250 株を整備する計画）。本課題によって疾患特異的 iPS 細胞株の即時提供体制が強化されていることの意義は大きく、今後の継続的な貢献が期待される。

再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題において、ベクター製造に適応した施設の整備、GMP 準拠製造機器の設置など、製造支援を実施する体制を整備した。具体的には、製造支援として、AAV、レンチウイルス、非ウイルスベクターに加え、CAR-T 細胞療法の治験経験を有する医師などの専門家が参画し、多様な研究シーズに対応可能な支援体制を構築した。ベクターの製造条件の検討に対する助言、製造受託機関の紹介などのマッチング支援を実施し、実用化促進がなされている。

以上により、本事業の有効性は高いと評価できる。

<効率性>

評価項目	評価基準		評価項目・評価基準の適用時期
計画・実施体制の妥当性	定性的	目標の達成に向けて、効率的な研究を推進するための適切な体制が形成されているか	前・中

再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題において、基礎的研究から臨床試験段階へ早期に橋渡しできるよう細胞・ベクター製造支援を実施した。また実施機関や他の支援課題と連携し、それぞれの技術領域や疾患領域の専門家による規制面・倫理面・知的財産面からの伴走支援を実施し、効率的に研究を推進している。

具体的にはアカデミアと細胞・ベクター等の製造機関とのマッチングについて、支援対象課題の研究者から、令和 6 年度に 2 件、令和 7 年度に 2 件の相談を受け、受け入れ可能な国内 CDMO（受託開発・製造機関）へのマッチング支援を実施した。さらに、外部 CDMO への発注前段階において、試験製造支援課題により細胞・ベクターを用いた前段階試験（プロセス条件の検討等）を支援することで、GCTP 省令（再生医療等製品の製造管理及び品質管理の基準に関する省令）への適合を見据えた試験製造に適した条件を抽出し、アカデミアでの初期的な製造と、CDMO での実用化段階の製造との間に生じるギャップ解消を支援した。加えて、国内の再生・細胞医療・遺伝子治療研究の実用化に資する技術支援体制を強化するため、東京大学医科学研究所遺伝子治療・再生医療コンソーシアムの支援機能を活用し、令和 5 年 10 月から令和 7 年 10 月までに、計 23 件の製造方法に関する技術支援を実施するなど、実用化を見据えた支援を効率的に進めている。

人材育成の点では、中核拠点において若手研究者向けインターンシップ、博士研究員の公募や、民間企業とも連携したキャリアアップセミナー・交流会を実施し、若手研究者の

育成やキャリアパス支援を実施している。また、本事業の公募課題においては、若手枠を設置し、R7 年度までに 33 課題を採択、チーム型研究は 30 課題採択するなど、若手研究者の育成促進や裾野拡大に向け、効率的に支援している。

以上により、本事業の効率性は高いと評価できる。

(3) 科学技術・イノベーション基本計画等の上位施策への貢献状況

「第6期科学技術・イノベーション基本計画」において、健康・医療分野は重要政策課題の一つとして掲げられている。「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」に基づき、本事業の着実な推進により「医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進する」とされた目標の達成に貢献している。

(4) 事前評価結果時の指摘事項とその対応状況

<指摘事項>

なし

(5) 今後の研究開発の方向性

本課題は「継続」、「中止」、「方向転換」する（いずれかに丸をつける）。

理由：

上記で示したとおり、本事業の進捗状況は順調であり、中核拠点における革新的な基盤研究に加え、遺伝子治療との融合研究が進むなど「必要性」は高い。

再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題によるチーム型研究においても、異分野研究者・企業等との連携により企業導出件数も増加し実用化へ貢献しているなど「有効性」も高い。さらには実用化を見据えて研究早期から規制面・倫理面・知的財産面からの伴走支援を実施し、充実した実用化支援を推進しているなど「効率性」も高いことから、本事業は「継続」すべきと評価できる。

<本課題の改善に向けた指摘事項>

中核拠点において開発中である次世代 iPS 細胞に関しては、革新的な先端医療の早期実現を目指し、今後、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、定量的なコストの削減目標の設定や、成果の臨床的意義の明瞭化が重要であるとともに、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検討が期待される。

加えて、組織特異的な遺伝子送達技術に関しても、実用化に向けた研究開発のさらなる進展が期待される。中核拠点のハブ機能をいっそう発揮し、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つながる成果が創出されることへの強力な牽引が期待される。

(6) その他

倫理・社会共創に係る課題の解決支援と調査研究として、実用化支援課題において、相談窓口の設置、倫理課題アンケート分析結果の公表、研究への患者・市民参画の推進、異種移植プロジェクトチームの立ち上げ、国際的倫理規範の調査など多岐にわたる活動が実施されており、研究者の意識向上に貢献している。今後、プッシュ型の能動的な周知徹底や、本分野でこれから生じる可能性のある未知の倫理・社会共創課題の先行的な検討などが望まれる。

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム

別添



現状・課題

- 再生・細胞医療・遺伝子治療は、既存の治療法がない難病等の患者へ新たな医療を提供できる可能性があり、その世界市場は、2040年には2020年の20倍に成長すると見込まれ、欧米を中心に研究開発の競争が激化している。
- 「経済財政運営と改革の基本方針2025」（令和7年6月閣議決定）では、「iPS細胞を活用した創薬や再生・細胞医療・遺伝子治療の研究開発を推進」すること、「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画2025年改訂版」（令和7年6月閣議決定）では「再生・細胞医療・遺伝子治療、(略)の研究開発や生産体制の整備等に取り組む」、「iPS細胞等を用いた再生・細胞医療、遺伝子治療の研究開発や基盤整備」に取り組むことが掲げられている。
- 我が国が培ってきた**本分野の優位性を維持・向上させ、世界に先駆けて患者へ新たな医療を届ける**ためにも、**異分野連携（医学・生命科学系研究者と工学・情報系研究者等）の強化や、細胞製剤等の製造段階から基礎研究に立ち返るリバーストランスレーショナルリサーチの推進により、将来的な実用化を見据えた基礎的・基盤的な研究開発を強化する。**

取組内容

事業実施期間

令和5年度～令和9年度

① 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点

- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療分野の**共通基盤研究**の実施
- ・ 分野内外の研究者や医療・産業界等との**研究ネットワーク構築**とその**ハブ機能**の発揮
- ・ **次世代iPS細胞を実用化に繋げるための研究開発**の実施

② 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題

- ・ **新規治療手段の創出**を目指した再生・細胞医療と遺伝子治療の**融合研究**の充実
- ・ **我が国発の基幹技術**を有する革新的な治療法や**細胞製剤等の製造工程を意識**した研究開発の充実

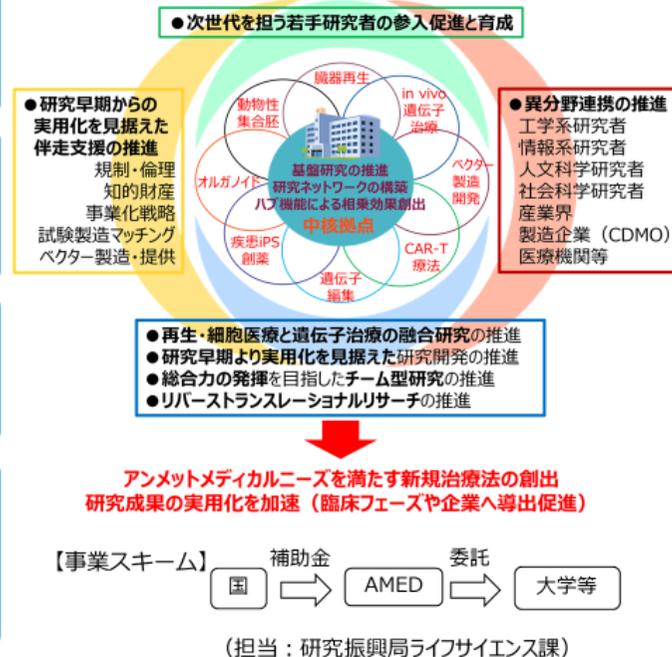
③ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

- ・ 患者由来の疾患特異的iPS細胞等を活用した**病態解明・創薬研究**の充実
- ・ 裾野拡大のための**疾患研究者とiPS細胞研究者による共同研究**の促進
- ・ 臨床情報等の充実した**疾患特異的iPS細胞バンクの利活用**の促進

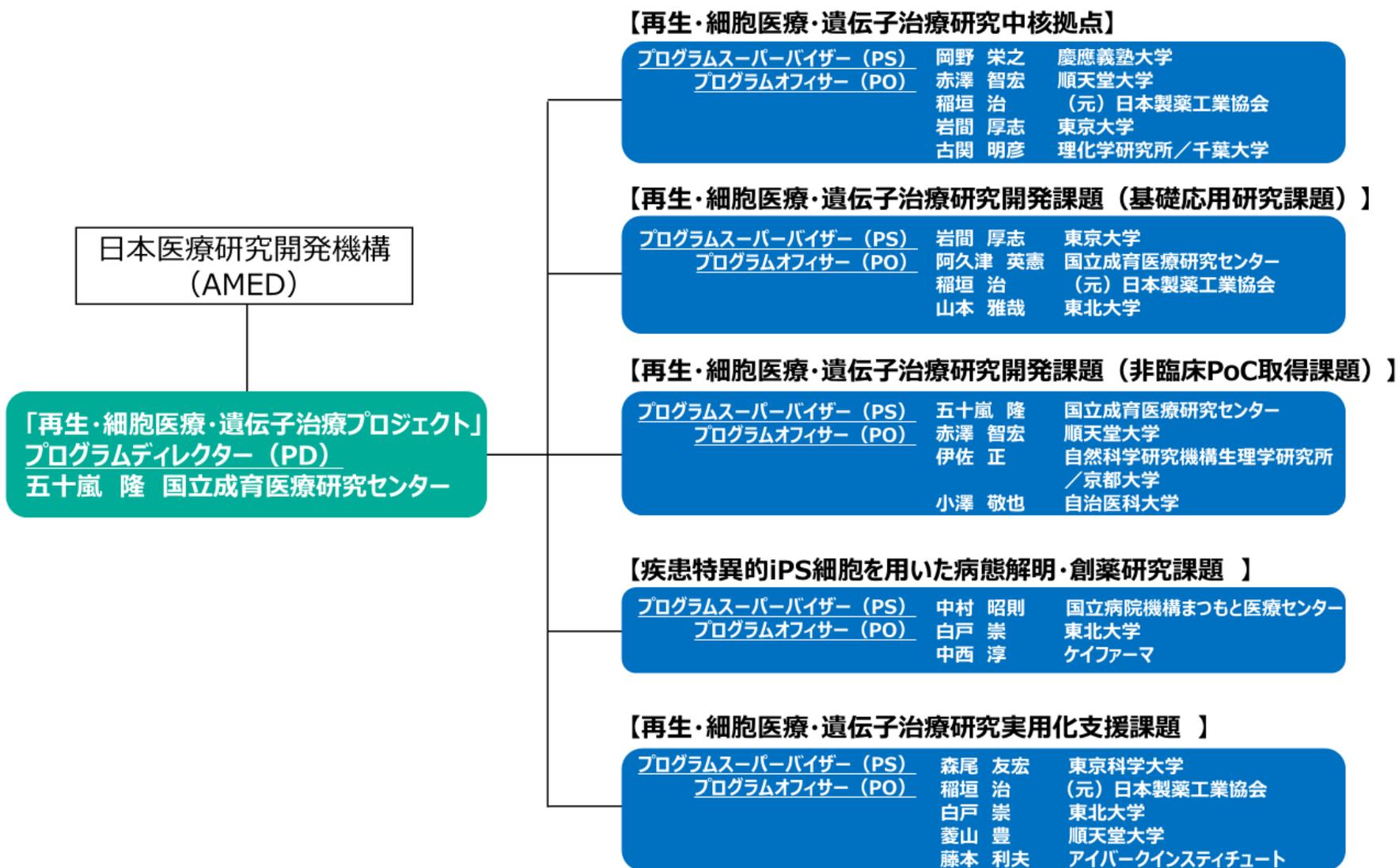
④ 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

- ・ 実用化に向けた**規制・倫理面の伴走支援**の実施
- ・ 研究早期からの**事業化戦略支援**の実施
- ・ **ベクター**（細胞へ遺伝子を導入する媒体）の**製造支援・提供の実施**
- ・ 細胞・ベクターの**試験製造マッチング**支援の実施

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・遺伝子治療実現加速化プログラム 実施体制



再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点

開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
R5	R9	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	京都大学	高橋 淳

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）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
チーム型 ・一般	R5	R7	次世代mRNAテクノロジーを活用した細胞・遺伝子治療技術の開発	京都大学	齊藤 博英
			遺伝子発現制御機構の開発によるRett症候群及びMECP2重複症候群の遺伝子治療開発	自治医科大学	小島 華林
			固形がんの抗原不均一性の克服により治癒を目指す、多種類の共通がん抗原を標的とするカクテルCAR/TCR-T細胞療法の開発	国立がん研究センター	中面 哲也
			胎児丸ごとの体外培養法を用いた次世代オルガノイドの開発	熊本大学	西中村 隆一
			ヒト人工染色体ベクターによるデザイナーiCAR-T細胞創出プラットフォーム開発	鳥取大学	香月 康宏
			遺伝子導入神経幹細胞を用いた脊髄機能再生に関する基礎研究	慶應義塾大学	岡野 栄之
			難治性固形がんに対するPRIME CAR導入iPS細胞由来抗原提示細胞を用いたNKT細胞標的免疫療法の開発研究	千葉大学	本橋 新一郎
			移植用ヒト固形臓器作出を目的とした協調的ヒト→動物キメラ作出技術の開発	東京科学大学	中内 啓光
遺伝子治療実現に向けたヒト黄斑オルガノイドの開発	大阪大学	西田 幸二			
チーム型 ・rTR	R5	R7	革新的RNA編集技術を用いた筋萎縮性側索硬化症の遺伝子治療開発	慶應義塾大学	森本 悟

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



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）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
個別型・一般	R5	R7	生体内でキメラ抗原受容体T細胞応答を制御する新たな医療技術の開発	国立がん研究センター	植村 靖史
			iPS細胞由来抗CADM1-CAR-T細胞によるATL治療法開発に関する研究	国立健康危機管理研究機構	俣野 哲朗
			iPS細胞を用いた革新的ミトコンドリア置換技術の開発	大阪大学	林 克彦
			低コスト及び有効性・安全性を高めた誘導型心臓遺伝子治療用ベクターの開発	大阪大学	松岡 研
			多様な反応性を持つヒトナイーブT細胞を再生する人工胸腺デバイスの開発	京都大学	濱崎 洋子
			光操作に基づくin vivo遺伝子治療技術の創出	東京大学	佐藤 守俊
			エピゲノム編集によるレット症候群の遺伝子治療の研究開発	国立精神・神経医療研究センター	伊藤 雅之
			分子特異的DNA/aptamer修飾で細胞特異性を改良した次世代型分子特異的アデノ随伴ウイルス(Apt-AAV)ベクター基盤の研究開発	自治医科大学	大庭 賢二
			造血幹細胞に対する超高効率ゲノム編集プラットフォームの開発	自治医科大学	中原 史雄
			老化細胞リプログラミング機構の解明による加齢組織再生法の創出	金沢大学	城村 由和
			ダイレクトリプログラミングにより網膜神経節細胞を再生させる新規緑内障治療法の開発	筑波大学	福田 慎一
			難治性がんの根治を目指した腫瘍溶解性ワクシニアウイルスベクターによる次世代がん遺伝子治療法の研究開発	鳥取大学	中村 貴史
キメラ抗原受容体を樹状細胞に組み込んだ新規細胞療法に関する研究開発	名古屋大学	粕谷 英樹			

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



文部科学省

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）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
個別型	R6	R8	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	京都大学	A L E V C A N T A S
			転写機構改変による自己複製能を持つCAR-NK細胞の開発	慶應義塾大学	籠谷 勇紀
			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	京都大学	高島 康弘
			骨髄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	熊本大学	梅本 晃正
			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	九州大学	佐田 亜衣子
			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	京都大学	今吉 格
			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	京都大学	吉田 善紀
			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	国立健康危機管理研究機構	石坂 幸人

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



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）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
一般型 (個別)	R7	R9	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	大阪大学	伊川 正人
			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	鹿児島大学	小賤 健一郎
			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	東北大学	田久保 圭誉
			Perturbation Atlasを用いたヒト血管内皮症候群治療基盤の開発	大阪大学	武部 貴則
			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	京都大学	星 美奈子
			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	京都府立医科大学	星野 温
			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	東京科学大学	水谷 知裕
			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	九州大学	村上 祐介
個別型 ・rTR	R5	R7	GPC3 CAR発現iPS細胞由来ILC/NK細胞の患者体内生存延長と抗腫瘍エフェクター機能向上を目指したリバーストランスレショナル研究	京都大学	金子 新
			自家iPS細胞由来血小板製剤の臨床研究(iPLAT1)の事後検証と製剤改良	京都大学	杉本 直志

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



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）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
挑戦型	R7	R9	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	東京科学大学	内田 智士
			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	京都大学	長船 健二
			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	東京大学	合山 進
			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	名古屋工業大学	角田 聡
			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	理化学研究所	萩原 将也
			ATL細胞への革新的送達技術の確立と治療応用	熊本大学	安永 純一郎
			メモリー幹細胞性を有するT細胞療法の開発	東京理科大学	吉村 昭彦

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



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）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
挑戦型・若手育成枠	R7	R9	iPS細胞由来NKT細胞療法を用いた新規免疫治療の開発	千葉大学	青木 孝浩
			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	岡山大学	大谷 理浩
			世代間伝搬性エピゲノム異常の修復技術の開発	熊本大学	高橋 悠太
			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	東京科学大学	出口 清香
			心不全制御因子を標的とする心不全治療法の開発	東京理科大学	内藤 瑞
			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	九州大学	新居 輝樹
			脱分化型肝細胞を利用した糖尿病の新規治療法の開発	九州大学	三浦 静
			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	札幌医科大学	村田 憲治
			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	東京大学	余語 孝夫

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（基礎応用課題）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
個別型 ・若手 B	R5	R7	内在性間葉系幹細胞を用いた変形性関節症治療のための再生医療基盤の開発	筑波大学	木村 健一
			ヒト成熟心筋細胞、心臓線維芽細胞の細胞周期制御による虚血性心不全に対する新規心臓再生治療開発	京都大学	舟越 俊介
			ヒトiPS細胞由来バイオ人工心臓の高機能化とスケールアップ	大阪大学	三木 健嗣
			新規抗体医薬の設計およびCAR-T細胞療法との融合による革新的がん免疫療法の研究開発	慶應義塾大学	伊藤 雄介
			毛髪再生医療のためのヒト毛包オルガノイドの開発	神奈川県立産業技術総合研究所	景山 達斗
			人工遺伝子回路を用いた造血幹細胞に特異的な細胞運命制御技術の開発	京都大学	小野 紘貴
			未成熟器官との相互作用に基づく抗老化機構の理解とその応用技術開発	東京科学大学	小池 博之
			臓器再生早期実現に向けた誘導前駆細胞による胎子キメラ作製とマルチキメラ腎臓の開発	東京慈恵会医科大学	山中 修一郎

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（基礎応用課題）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
若手	R6	R8	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	岡山大学	高尾 知佳
			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	昭和医科大学	田中 準一
			血管網を有するヒト多能性幹細胞由来肺胞組織の構築	東京大学	池尾 聡
			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	京都大学	内村 智也
			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	慶應義塾大学	杉本 真也
			難治性うつ病の遺伝子治療に関する研究開発	東京大学	奥山 輝大

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



文部科学省

再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（非臨床PoC取得課題）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
チーム型	R5	R9	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	自治医科大学	大森 司
		R7	iPS細胞を用いた脳梗塞治療実現のための応用研究	京都大学	高橋 淳
		R9	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	大阪大学	武部 貴則
		R7	MASH肝硬変を対象としたヒトiPSC肝臓オルガノイド移植治療法の開発	東京大学	谷口 英樹
		R8	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	慶應義塾大学	中村 雅也
		R9	CRISPR-Cas3 mRNA-LNPEマルチリティによる安全なin vivoゲノム編集治療基盤の構築	東京大学	真下 知士
		R7	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	東京科学大学	森尾 友宏
		R9	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	東京大学	山崎 聡
	R6	R8	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	東京大学	藤堂 具紀
			徐脈性不整脈に対する高品質心臓ペースメーカーオルガノイド移植治療法の開発	藤田医科大学	遠山 周吾
			間葉系幹細胞治療用中空糸膜カラムの実用化	名古屋大学	古橋 和弘
			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	順天堂大学	松本 征仁

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（非臨床PoC取得課題）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
チーム型 rTR	R5	R7	肝移植患者の免疫抑制剤を最低用量化する個別化医療の実現にむけた新規制御性T細胞製剤開発研究	順天堂大学	内田 浩一郎
個別型	R5	R7	SOD1変異ALSに対する遺伝子編集治療法の開発	京都大学	井上 治久
		R7	iPS細胞由来髄核を用いた髄核replacementによる椎間板変性の再生治療開発	大阪大学	海渡 貴司
		R7	バイオ3Dプリンターで作製した三次元移植組織を用いる革新的歯周再生療法の開発	広島大学	加治屋 幹人
		R8	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	国立精神・神経医療研究センター	戸田 達史
		R8	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	京都大学	朝長 啓造
		R8	難治性がんに対する次世代ウイルス療法の研究開発	鳥取大学	中村 貴史
		R7	先天性GPI欠損症の遺伝子治療に関する研究開発	大阪大学	村上 良子
個別型 rTR	R5	R7	エリスロポエチン誘導性選択的制御遺伝子(SRG)搭載CAR-T療法の非臨床開発	自治医科大学	大嶺 謙

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



文部科学省

再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（非臨床PoC取得課題）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
個別型	R7	R9	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	慶應義塾大学	家田 真樹
			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	大阪大学	妻木 範行
			肝線維化を標的とした新規細胞外小胞医薬品の開発	慶應義塾大学	松崎 潤太郎

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
疾患特異的iPS細胞利活用促進のための共同研究支援課題	R5	R9	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	京都大学	齋藤 潤
疾患特異的iPS細胞利活用促進のための共同研究課題	R5	R6	疾患特異的iPS細胞を用いた中枢神経におけるSENDA/BPANの病態解明と治療法開発	京都大学	栗屋 智就
			核酸医薬を用いた、心筋症の予後を改善する新規抗不整脈治療法の開発	東京大学	稲住 英明
			新規自己炎症症候群PSMB9異常症の病態解析	京都大学	齋藤 潤
			疾患特異的iPS細胞を用いた周期性四肢麻痺の病態解明と創薬基盤確立に関する研究開発	京都大学	櫻井 英俊
			多系統蛋白質症に伴う封入体ミオパチーの病態解明と治療法の開発	京都大学	櫻井 英俊
			非翻訳領域リピート病のiPS細胞を用いた病態解明研究	横浜市立大学	土井 宏
			神経線維腫症1型患者のNF1遺伝子変異に基づく病態解明と個別化医療を目的とした疾患特異的iPS細胞の樹立	岡山大学	中田 英二
			特殊な変異を持つ多発性嚢胞腎患者由来の腎臓オルガノイドを用いた早期発症嚢胞の再現	熊本大学	西中村 隆一
患者由来iPS細胞を用いた胆道異常の病態モデリングと治療法開発	理化学研究所	高崎 真美			

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



文部科学省

疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
疾患特異的iPS細胞 利活用促進のための 共同研究課題	R7	R8	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	国立長寿医療 研究センター	飯島 浩一
			iPS細胞を用いた多系統萎縮症の病態に関する研究開発	国立精神・ 神経医療 研究センター	尾崎 心
			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	東京大学	高鳥 翔
			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	兵庫医科大学	塚本 蔵
			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	神戸大学	堀之内 智子
			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	聖マリアンナ 医科大学	山野 嘉久

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
病態解明 ・ チーム型	R5	R7	筋萎縮性側索硬化症における病態回避機構の解明と治療に資する層別化技術開発	慶應義塾大学	岡野 栄之
			ロングリードシーケンスとiPS細胞技術で解き明かす、リピート構造異常に起因する骨格筋疾患の発症機構	京都大学	櫻井 英俊
病態解明 ・ 個別一般	R5	R7	運動ニューロン疾患におけるシナプスを介した神経変性機構の解明	愛知医科大学	岡田 洋平
			疾患特異的iPS細胞を用いた病態機序解析による特発性間質性肺炎の層別化と創薬システムの開発	京都大学	平井 豊博
			不死化リンパ球遺伝子変異バンクを用いた、two-hit theoryによる不整脈原性右室心筋症の発症、病態悪化の分子機序の解明	東京女子医科大学	松浦 勝久
病態解明 ・ 個別若手	R5	R7	ヌーナン症候群における心筋細胞周期脱制御機構の解明と治療候補薬の探索	東京大学	伊藤 正道
			患者iPS細胞由来視床下部一下垂体オルガノイドを用いたPrader-Will症候群の病態解明およびエピゲノム編集を用いた治療戦略の構築	東京医科大学	奥野 博庸
			認知症、脳卒中の病態解明にむけた遺伝性脳小血管病の血液脳関門破綻機序解明	山口大学	西原 秀昭
			ヒト特異的RNA-タンパク質結合異常から迫る筋萎縮性側索硬化症の病態解明、治療法研究	名古屋大学	横井 聡

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
バンク 利活用 促進課題	R5	R9	疾患特異的iPS細胞バンク事業	理化学研究所	中村 和昭
技術開発 ・ 一般	R5	R7	脳細胞ヒト化による神経病態と免疫応答解析の基盤技術開発	京都大学	井上 治久
			疾患特異的iPS細胞の樹立・特性解析・加工の高度化・効率化・情報公開	理化学研究所	榎屋 啓志
			心臓の病理を統合的に再現する領域特異的心筋組織モデルの構築	京都大学	吉田 善紀
技術開発 ・ 若手	R5	R7	超高効率1細胞RNA-seq解析技術開発に基づくALS患者由来iPS細胞バンクの疾患関連1細胞データベースの構築	東京理科大学	七野 成之
創薬スクリーニング系確立	R5	R7	孤発性パーキンソン病iPS細胞ライブラリーを活用した治療薬探索	順天堂大学	赤松 和土
			機能性オルガノイドを用いた運動ニューロン疾患遺伝子治療薬スクリーニング系の確立	京都大学	井上 治久
			新・標的分子と新・神経機能解析法を用いた糖脂質代謝異常症の薬剤開発	熊本大学	江良 択実

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 採択課題一覧



再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
規制・社会実装支援課題	R5	R9	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旗実装加速化に資する伴走支援	京都大学	妹尾 浩
事業化戦略支援課題	R5	R9	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	大阪大学	名井 陽
			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	東京大学	長村 文孝
			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	国立がん研究センター	土井 俊彦
倫理・社会共創課題	R6	R9	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	大阪大学	山本 洋一
試験製造支援課題・細胞	R5	R9	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	東京大学	長村 登紀子
試験製造支援課題・ベクター	R5	R9	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	東京大学	岡田 尚巳
ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題	R4	R9	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	東京大学	岡田 尚巳
	R5	R9	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	大阪大学	岡崎 利彦

再生医療実現拠点ネットワークプログラム（前身事業） R4採択課題一覧



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）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
個別型・一般	R4	R6	特異的デリバリーシステムを使用した造血幹細胞のin vivo遺伝子治療	東京大学	内田 直也
			発生学的ニッチと人為的遺伝子改変を用いたヒトiPS細胞からの臓器の再生	京都大学	長船 健二
			KLF1-mRNA医薬の開発による心筋再生誘導	国立循環器病研究センター	菊地 和
			新規ゲノム編集技術とナノDDS探索によるダウン症候群の知的発達障害に対する遺伝子治療法の開発	大阪大学	北畠 康司
			ダイレクトリプログラミングによる臨床応用可能なヒト肝前駆細胞の作製と革新的肝再生誘導法の開発	九州大学	鈴木 淳史
			人工ナノ粒子放出型細胞による次世代の細胞遺伝子治療プラットフォーム開発	京都大学	堀田 秋津
			iPS細胞を用いた自己組織化による複合型機能性ヒト腸管グラフト製造法の開発	東京科学大学	水谷 知裕
個別型・若手	R4	R6	多能性幹細胞から生殖系列への種を越えた運命決定機構の解明	東京大学	小林 俊寛
			細胞間RNA転送によるゲノム・エピゲノム編集技術の創生	東京科学大学	武部 貴則
			細胞外代謝環境スクリーニング系による高機能化オルガノイドの作製とその応用	藤田医科大学	遠山 周吾
			心筋細胞を標的とした遺伝子治療・変異修復治療による心臓疾患治療法の開発	東京大学	野村 征太郎
チーム型	R4	R6	ダイレクトリプログラミングによる革新的心臓再生遺伝子治療の開発	慶應義塾	家田 真樹
			ヒト多能性幹細胞を用いた異種移植による肺の臓器再生モデルの開発	京都大学	後藤 慎平

再生医療実現拠点ネットワークプログラム（前身事業） R4採択課題一覧



再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（非臨床PoC取得課題）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
チーム型	R4	R8	Pompe病の根治を目指した新規遺伝子治療法の開発研究	東京慈恵会医科大学	小林 博司
			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	東京大学	山田 泰広
			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	東京慈恵会医科大学	横尾 隆

疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
難病等疾患特異的iPS細胞の樹立・バンク拡充課題	R4	R6	指定難病を中心とした希少疾患iPS細胞バンクの拡充に関する研究	京都大学	齋藤 潤
疾患付随情報充実バンク課題	R4	R6	レジストリ連携による神経変性疾患iPS細胞コホートの構築と整備	京都大学	井上 治久
			分子機能による層別化を目的とした心筋疾患iPS細胞ライブラリーの構築	大阪大学	坂田 泰史
			自然免疫異常症に対する包括的iPS細胞バンクの構築	京都大学	八角 高裕