

遺伝子治療製造技術開発
【上位事業：再生医療・遺伝子治療の産業化に
向けた基盤技術開発事業】

終了時評価報告書

(案)

2025年3月

産業構造審議会 イノベーション・環境分科会

イノベーション小委員会 評価ワーキンググループ

はじめに

研究開発の評価は、研究開発活動の効率化・活性化、優れた成果の獲得や社会・経済への還元等を図るとともに、国民に対して説明責任を果たすために、極めて重要な活動であり、このため、経済産業省では、「国の研究開発評価に関する大綱的指針」（平成28年12月21日、内閣総理大臣決定）等に沿った適切な評価を実施すべく「経済産業省研究開発評価指針」（令和4年10月改正）を定め、これに基づいて研究開発の評価を実施している。

経済産業省において実施している「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業」は、再生・細胞医療・遺伝子治療の産業化の促進に向け、ヒト細胞加工製品や遺伝子治療に用いる治療用ベクターの安定的かつ効率的な製造技術等を開発するとともに、再生医療技術を応用した新薬創出を加速する。これらにより、我が国発の革新的医療の社会実装を図り、拡大する世界の医療・医薬品市場の取込みによる経済成長への貢献と、国民が健康な生活及び長寿を享受することの出来る社会（健康長寿社会）の実現を目指すため、2015年度より実施している（2015年度から2029年度まで実施予定）ものである。

今般、省外の評価者より本事業にかかる事業実施の意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋・目標達成状況・マネジメントの妥当性について経済産業省研究開発評価指針に基づく標準的評価項目・評価基準を踏まえて評価いただき、その評価結果としてとりまとめられた「遺伝子治療製造技術開発 終了時評価報告書」の原案について、産業構造審議会 イノベーション・環境分科会 イノベーション小委員会 評価ワーキンググループ（座長：鈴木 潤 政策研究大学院大学教授）において審議し、了承した。

本書は、これらの評価結果を取りまとめたものである。

2025年3月

産業構造審議会 イノベーション・環境分科会
イノベーション小委員会 評価ワーキンググループ

【本終了時評価の審議経過】

◆ 外部評価者による評価（意見聴取）

【実施時期】

2024年12月2日～2024年12月6日

【外部評価者】

片山 博仁	ノバルティス ファーマ株式会社 シニアエコシステムリード
加藤 竜司	名古屋大学 大学院 創薬科学研究科 基盤創薬学専攻 細胞分子情報学分野 准教授
河内 幾生	富士フイルムホールディングス（株）知的財産部 国際標準化推進室 シニアエキスパート
小林 美保	ARTHUR D LITTLE マネージャー
山口 秀人	アステラス製薬株式会社 CMC ディベロップメント 原薬研究所 所長

（五十音順）

◆ 産業構造審議会イノベーション・環境分科会イノベーション小委員会

評価ワーキンググループ（2025年3月7日）

・ 研究開発事業に関する終了時評価報告書案について

【本研究開発評価に係る省内関係者】

事業担当課長	商務・サービスグループ	生物化学産業課	課長	下田 裕和
評価担当部署	イノベーション・環境局	研究開発課	技術評価調整官	大隅 一聡

目次

【事業情報】	1
第1章 外部評価者からの評価結果	3
1. 評点法による評価結果	4
2. 評価コメント	5
3. 評価コメントに対する対処方針・見解	10
第2章 評価ワーキンググループの所見と その対処方針	15
第3章 評価対象事業に係る資料	18

【事業情報】

事業名		遺伝子治療製造技術開発 【上位事業：再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業】						
担当部署		経済産業省 商務・サービスグループ 生物化学産業課						
事業期間		2018年度～2023年度 評価時期：事前（2017年度）、中間（2022年度）、終了時（2024年度）						
予算額		2018年度	2019年度	2020年度	2021年度	2022年度	2023年度	総額
	(予算)	13.0億円	12.6億円	12.6億円	13.0億円	13.1億円	12.8億円	77.2億円
	(執行)	13.0億円	48.6億円	14.5億円	25.9億円	17.7億円	17.6億円	136.8億円
上位施策及びKPI		<p>健康・医療戦略（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）</p> <ul style="list-style-type: none"> ・シーズの他事業への導出件数：30件 ・企業へ導出される段階に至った研究課題数：10件（うち遺伝子治療2件）（うち企業へ導出された件数2件） ・薬事承認件数（新薬、適応拡大）：2件以上 <p>【上位施策】産構審の政策評価：政策テーマ4③目標①新規サービスの創出・拡大（ヘルスケア・医療・福祉/バイオ）に該当。</p>						
事業目的		<p>細胞・遺伝子治療の市場は年成長率約50%で急成長しており、2028年には7兆円超に到達する見込みとなっていることから、欧米でも遺伝子治療の研究開発が進んでおり、数多くの開発品、上市品を生み出している。現在、日本でもウイルスベクターを用いたin vivo遺伝子治療の研究開発が活発に行われており、今後の実用化がさらに加速していくと考えられている。一方で、遺伝子治療で用いられるウイルスベクターにつき、現状は海外産に依存しているが、価格が非常に高いため遺伝子治療薬は数千万～数億円と高額化しているほか、品質にも懸念があり、薬害事象も発生している。これらの課題が遺伝子治療の産業化で障壁となり、多くの患者さんに治療を届けるのは不十分な状況となっていることが社会課題である。</p> <p>本事業では、遺伝子・細胞治療の実用化のためのベクター製造技術の開発のため、わが国に点在する多様な要素技術を可及的速やかに結集させ、わが国の高度な技術力とネットワーク力を生かして、先端的な遺伝子・細胞治療のために必要な高度な製造技術、安全性向上技術等の研究開発を加速化し、医療現場に革新的な治療法を提供することを目的とする。</p>						
事業内容		課題1にて、治療用ウイルスベクターの新規大量製造技術を開発し、課題2にて、ベクター製造・非臨床・First in Human(FIH)試験等の研究開発拠点を整備を行った。						
アウトカム指標		アウトカム目標		達成状況				
短期目標 2024年度	本事業で開発したウイルス産生細胞をリサーチセルバンク化した件数	1件		追加の調整費の効果もあり、品質試験など必要となる情報は取得済みであることから、十分に達成できる見込み。				

	本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数	3件	達成済み。 (信州大学で見出された PiggyBac 法の ex vivo 遺伝子治療で 3 件)
長期目標 2029年度	本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数	6件 (累積)	マスターセルバンク構築後の HAT 細胞や信州大学で実施された PiggyBac 法の ex vivo 遺伝子治療が普及される事で、十分に達成できる見込み。
アウトプット指標		アウトプット 目標	達成状況
中間目標 2022年度	ベクター製造に係る各要素技術の確立、及び各要素技術を組み合わせ合わせた製造システムの確立数	12件	49件 (達成)
最終目標 2023年度		55件 (累積)	58件 (達成) (累積)
マネジメント	<ul style="list-style-type: none"> ・ 契約管理、研究計画の確認、年度初めの予算配分案の作成を行う。予算増減の必要な項目があれば対応を検討し、経済産業省に提案する。 ・ 月1回程度の進捗会議 (PSP0 会議、PSP0 は必須、必要に応じて個別課題担当者を招集) の主催と、各課題担当者との直接のやりとりを通じて、課題毎の進捗状況の管理を行う。 ・ 事業の成果について事業外に発信する場 (成果報告会等) の企画・開催を行う。 ・ 3年目に AMED にて外部有識者によるステージゲート審査を行う。 		
プロジェクトリーダー等 (敬称略)	OPS : 稲垣 治 (元日本製薬工業協会 運営委員) OP0 : 島田 隆 (日本医科大学 名誉教授) OP0 : 五十嵐 隆 (国立成育医療センター 理事長)		
実施体制 (敬称略)	METI (補助金) → AMED (委託) → 大学、民間企業など		
	課題 1	大政 建史 (MAB 組合) 等	
	課題 2	岡田 尚巳 (東京大学) 等 小澤 敬也 (自治医科大学) 等 藤堂 具紀 (東京大学) 等 中沢 洋三 (信州大学) 等 中西 真人 (ときわバイオ (株)) 等	
	課題 3 ※事業期間 3 年で事業終了の若手枠。中間評価にて評価済みなので、終了時評価の対象外。事業終了時の所属機関名を記載。	内田 智士 (京都府立医科大学) 等 籠谷 勇紀 (愛知県がんセンター) 等 川又 理樹 (九州大学) 等 塩澤 裕介 (日本医科大学) 等 田久保 圭誉 (国立国際医療研究センター) 等 水野 聖哉 (筑波大学) 等	

第 1 章 外部評価者からの評価結果

1. 評点法による評価結果

事業名：遺伝子治療製造技術開発

評価項目・評価基準	各外部評価者の評価					評点
1. 意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋						
(1) アウトカム達成までの道筋	A	A	B	A	A	2.8
(2) 知的財産・標準化戦略	B	A	B	B	B	2.2
2. 目標及び達成状況						
(1) アウトカム目標及び達成見込み	A	A	A	A	A	3.0
(2) アウトプット目標及び達成状況	B	A	A	A	A	2.8
3. マネジメント						
(1) 実施体制	A	A	A	A	A	3.0
(2) 研究開発計画	B	A	A	B	A	2.6

《判定基準》

- A：評価基準に適合し、非常に優れている。
 B：評価基準に適合しているが、より望ましくするための改善点もある。
 C：評価基準に一部適合しておらず、改善が必要である。
 D：評価基準に適合しておらず、抜本的な改善が必要である。

(注) 評点はA=3、B=2、C=1、D=0として事務局が数値に換算・平均して算出。

2. 評価コメント

本項では、外部評価者からの全てのコメントを参考として列記している。

(1) 意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋

【肯定的意見】

- 国際的に競争力のあるウイルスベクター産生細胞を見出した点は素晴らしい。
- 中間評価における計画修正は、研究ポートフォリオを適切にマネジメントした結果として評価できる。
- 複雑で多岐にわたる遺伝子治療領域の全体像をカバーした校正要員で計画されていたが、課題間の連携も計画され、製造基盤技術という軸に統合できていた。
- HAT細胞の樹立を経て行われたアウトカム目標の見直しは極めて妥当である。そこから追加修正された目標も、そこまでにプロジェクトで蓄積された社会的影響の考慮を有効に反映していると考えられ、事業後の発展も視野に入れてアウトカム達成を確実にする取組として設計されていると評価できる。
- 膨大かつ発散しがちな知財戦略化や管理を、MAB組合のような企業感覚を有し、同時に外部アカデミアとの連携実現が可能で、製薬企業とのパイプラインもハンドリングできる組織を中核として集中して行ったことは優れた体制と取組だと評価できる。
- 本事業で開発された新規宿主細胞や先端的な品質管理技術を活用して治験薬を製造し、薬事申請を行うことを想定すると、2029年を目標とした臨床研究件数達成のロードマップを設定したことは現実的であり、その実現が大いに期待される。
- In vivo 遺伝子治療分野の開発はわが国が遅れを取っており、明確に差別化可能な技術で対応する必要があるという状況で、中間報告時に見いだされた優位性の強化をすることに注力をする判断を行ったことは事業目的を鑑みて優れていると考える。

【問題点・改善点・今後への提言】

- 遺伝子治療の承認判断は規制当局が実施することであるが、承認申請の際の製造・特性評価及び試験方法を含む構成要素に関する説明は、ISO、ICH等の文書に沿って実施することが議論の効率化のために望ましい。
- ベクター産生細胞に関しては、ISO 23033に沿った重要品質特性の説明と試験方法の妥当性確認、近日発行のJIS Q 2101に沿った製造プロセスの安定化を実施して欲しい。特に、この特性評価に基づき優位性を説明できると好ましい。また、ベクターに関しても、国際規格案として近日公開されるISO/DIS 16921-2に沿った力価及び活性の定量化をお願いしたい。
- 前回評価時の指摘事項で「世界市場への展開や国際標準化も見据えて・・・」という指摘があったにも関わらず、標準化戦略は非常に不明瞭に感じ、国際標準化が回避されているように感じた。知財化戦略にも特色が感じられなかった。
- 海外の競合（大手サプライヤー）によるワンストップシヨップ化に対抗するための「日本独自の特色・競争力」を獲得するための戦略として、企業連合の競争力の向上と、本事業の知財戦略・標準化戦略に書かれた内容は合致しないように感じた。

- 今回の知財化戦略によって、企業連合の競争力が向上するように理解できなかった。
- 標準化戦略における「デファクトスタンダードを目指す」はあまりにも曖昧な記載で、日本が国際競争力を勝ち取る最適な戦略に思えなかった。ISO や ICH との連携の記載も非常に曖昧である。
- セルバンク化の件数や、臨床研究の件数は、具体的で重要な目標であるが、その件数が、波及効果に記載されている内容に本当につながるのか、理解しづらいと感じた。
- 本事業で多数行われたはずの「技術優位性やポジショニングの把握情報」に立脚しているのかが不明瞭に感じた。最新の世界情勢に合致した戦略であることが明確に理解できるような各種戦略の説明・表記が必要ではないかと思われた。
- 中間評価からの目標変更については、HAT 細胞のリサーチセルバンク化の目標追加と目標臨床研究数の低減との関連性がやや分かりにくいように感じられた。
- 標準化戦略については、ISO や JIS のような既存のシステムでの採択を目指すのではなく、成果を企業に採用してもらい、各社が薬事当局との議論を通じて最終的にデファクトスタンダードを目指す方針が示されているが、具体的な方法論や KPI などの評価指標が明確ではなく、中間評価時点から引き続き課題として残っているように感じられた。
- 本事業は知財・標準化戦略検討が主軸ではないと思うが、米国では 2024 年に CAR-T とゲノム編集技術のガイダンスが発出され、In vivo 遺伝子治療でも検討が進む可能性があるため我が国が標準化の動きに遅れないよう最新の議論状況の把握が必要と考える。

(2) 目標及び達成状況

【肯定的意見】

- ウイルスベクター産生細胞を見出したことに伴い、アウトカムを適切に修正するとともに、達成見込みを得ていることは大きな成果と考える。
- 本事業で開発したウイルスベクター産生細胞をリサーチセルバンク化した 1 件の成果は、貴重な国産化実現を可能にしたもので、国内イノベーター、国内生産事業の競争力を向上させる源となる成果である。また、既に 3 件の臨床研究がなされており、見込みでは 6 件の応用展開が予定されており、スピード感がある。それぞれの臨床結果はまだ論じられないが日本発の技術を統合して革新的治療を早く患者に届け、市場を創出するという本事業の目的に対して、注目すべき成果に臨機応変に官民が協力して出したこの結果は、将来の自立が期待できる基盤技術で、成果発表もされており、それぞれの担当した成果は高く評価される結果と考える。さらに付随する要素技術は当初目標を大幅に上回って 58 件を達成している点も、スピード感と技術と知識経験の統合された基盤があつてのことと考えられ、事業目標にかなっている。中間評価より課題 1、2 の連携が意識され、多くの要素技術も確立され、知財が得られている点は高く評価できる。課題 3 の個別成果として論文成果が確認できており素晴らしい。高額な予算に応じた成果につながったと考える。
- 非常に挑戦的事業内容であるにも関わらず、各要素技術の独自性は極めて高い。また、アウトプット目標値の設定も挑戦的とも感じたが、これを遥かに上回る達成状況

を実現しており素晴らしいと評価でき、プロジェクト参画機関の方々の非常に精力的な研究開発が大規模に実現された優秀な実例と言える。

- 特に MAB 組合という複雑なコンソーシアムから多数の開発技術、それも製造そのもの（特にデファクト化に重要と考えられる要素技術）が複数開発されていることは、本事業の目標や日本の課題に大きく貢献している。
- プロジェクトのリーダー・マネージャーの全体設計および施設間の緻密な情報共有や議論の賜物であり、大型国家プロジェクトとして密な連携が実現していると感じられた。
- 製造に真剣に取り組む国家プロジェクトが減り、医薬品関連研究が「基礎研究・治験目的」に偏ってしまっている感がある中で、本事業のような「製造」という産学官連携の重要な事業に、次世代研究者の参画が積極的に行われている点も大きく評価でき、教育的な波及効果は極めて大きい。
- 中間評価以降に実施されたアウトカム指標および目標の変更において、海外に依存している生産細胞株と同等以上の性能が期待される国産生産細胞の樹立に集中したことは、産業利用の観点から望ましい変更であると考えられる。
- 中間評価時に大幅なアウトプット目標を達成したことを受け、ストレッチ目標に変更し、これを達成できたことは高く評価される。
- 中間報告後に再設定されたアウトカム指標についてもすでに達成済み、または十分に達成できる見込みがあり、製造プロセス全体において技術が確立できていることから、我が国における市場獲得に大きく貢献する成果が出ていると考える。

【問題点・改善点・今後への提言】

- アウトプットの確立数が計画を大幅に上回った点は評価すべき点である一方、当初の計画立案の際の検討が十分であったか検証が望まれる。
- アウトカム実現のための構成要素は、アウトプット目標として必須であるので、件数だけの管理が妥当であるか、今後検討いただきたい。
- 技術確立の判断方法は明確にされていたのでしょうか？ 例えば、培地開発は ISO 20399、製造装置は ISO/TS 23565 への適合が検証されていないと実用化におけるリスクとなるため、確認いただきたい。
- 残留タンパク質を大幅に低減させる精製技術がマウスに有効であることは評価に値するが、ヒトに投与する際の上限の設定・検証をどう考えるかが今後の課題と思われる。
- 人材の育成、日本の不足する経験と知識の急速な底上げのために、この事業の技術、知識経験の日本の業界や学界へのより詳細な公開を単会ではなく、論文も網羅してテキストやまとまった講習会として手厚く行っていただけると事業価値が大きく高まるものと考えられる。
- 標準化戦略と関連し（今回はそもそも目標値として設定されていなかったのかもしれませんが）、アウトリーチ的内容が少ないと感じた（標準化戦略が曖昧なため）。
- デファクトスタンダード化を目指すのに、社会的アピランスや、海外に対する発信

(論文のような個別技術ではない)が少ない。検索してもほとんど本事業の成果が一般情報として検索できない。この状況でどうしてデファクト化を達成できるのか疑問に感じた。

- 今後、プレスリリース、海外発信、MAB 組合の HP 発信や動画などの公開などを積極的に長期的視野で行うことが期待された。
- 製薬企業との連携や、実際の日本国内への供給などの実現体制はどこまで進んだのか、が見えにくいと感じた。
- 本事業成果の社会実装実現力を理解するための情報発信、海外の例になぞらえればホワイトペーパーの発行、などが求められるように感じた。
- 特許出願などの情報が成果として記述してあった方がよいと感じた。知財戦略がどう機能したのか理解が難しい。
- 一般的な AAV の製造コスト構造は、製造費が 70%、原材料費が 30%を占めており、抗体医薬品のようにプロセス改善による上流・下流工程の期間短縮が期待しづらいことを踏まえると、生産性向上のための高機能宿主細胞の開発やトランスフェクション技術等への注力が重要と考えられる。
- 本領域は臨床 POC 取得シーズで使用された技術であることが大きな優位性に繋がるため、開発技術を実装したシーズの治験の加速を支援することも引き続き必要と考える。

(3) マネジメント

【肯定的意見】

- 事業の実施体制や採択プロセスは妥当である。
- AAV の精製技術開発では、複数方法の開発を行った上で適切なものを選択したように見受けられる。決め打ちではなく、ヘッジを含めて検討を進めた点は評価に値する。
- 複雑な実施体制で多岐にわたるテーマの統合を図ることは難しい事業であったと思われるが、個別に重要な研究テーマを多く実施し、論文につなげた点はマネジメントの成功であると考えられる。
- 中間評価での成果評価段階で国際競争力を持つ HAT 細胞マスターセルバンク化を重要課題にピックアップし、全体の研究資源配分計画を成果の出ているものとそうでないものに峻別し、モチベーションを高めながら最終的に連携の取れた目標以上のアウトカムを得た点は、研究計画マネジメントにおけるリーダーシップが高く評価できる。
- 進捗管理成果としての開発達成と達成率が優れている。本事業のように根源からの製造技術開発は非常に挑戦的であるにも関わらず、細胞株や各種製造・試験法の実現が着実に実現したことは高く評価できる。
- 達成結果からも、進捗管理手法・体制の連携が取れており、その結果プロジェクト全体で製造工程全体を俯瞰的に理解しながらの技術開発が実現したプロジェクトマネジメントであったと感じられた。
- 各種設定の指標、ステージゲート方式や事業の仕組みは非常に妥当であると感じられた。

- 実施者の技術力および実用化・事業化能力については、新規高機能宿主細胞のリサーチセルバンク樹立に代表されるように、研究チームの技術力が期待通り発揮されたと考えられる。
- 進捗管理は十分に行われており、予実のずれもなく、特筆すべき成果に対して中間報告後の更なる開発への注力ができるよう検討されており、素晴らしいマネジメント体制であったものとする。

【問題点・改善点・今後への提言】

- アウトプットとして 58 件の技術確立を達成しているが、研究開発項目（表 4～9）として計 50 件しか挙げられておらず不整合がある。検討した技術ごとに課題バラシを行い、それぞれの課題ごとに実施事項とスケジュールを具体化したガントチャートを作成して、進捗管理を行うと良かった。
- 例えば、複数の技術開発を行った精製技術の開発においては、方法を絞り込み、最終選択などのマイルストーンを設けてプロジェクト管理を行っていたか、検証いただきたい。
- 課題 1 と 2 の連携は想像がつくが、課題 3 は個別成果として論文、知財は素晴らしいが、個々の成果の本事業全体像に対する影響がそれぞれ何であったのか、今後どう役立てることができるかをどういう軸で評価し将来利用や他の課題への連携可能性を考えていたのか、何らかの切り口で説明し、統合して公表できているとより良いと考える。
- 今後長期的なアウトカム達成と標準化に向けて、「MAB 組合がどう持続され得るのか」「競争力を作る原資はどこから来るのか」や、「遺伝子治療開発加速化研究事業」においてどう発展されるのか、モチベーションはどうなるのか、についてももう少し記述があった方がよいと感じた。
- アウトプット目標の達成において、要素技術間の連携、特に課題 1 と課題 2 の間の連携については顕著な成果が見られず、課題があるように感じられた。特に、品質評価関連の要素技術は汎用性が高いと考えられるため、アウトプットの価値を最大化する視点から、より積極的な取り組みが期待される。
- 治験シーズへの技術実装を加速し、業界内での技術のプレゼンスを構築するために、実施体制の中に製薬企業との共同研究等をコーディネートする機能があるとよりよいのではないかと考える。

3. 評価コメントに対する対処方針・見解

(1) 意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋

問題点・改善点・今後への提言	対処方針・見解
<ul style="list-style-type: none"> ● 中間評価からの目標変更については、HAT細胞のリサーチセルバンク化の目標追加と目標臨床研究数の低減との関連性がやや分かりにくい。 	<p>HAT細胞を見出したことから、臨床研究の研究開発拠点整備に使用する予定だったところを（産業促進に向けて、より重要な）HAT細胞のリサーチセルバンク化に重点分配したため、目標も下方修正しております。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ● 遺伝子治療の承認判断は規制当局が実施することであるが、承認申請の際の製造・特性評価及び試験方法を含む構成要素に関する説明は、ISO、ICH等の文書に沿って実施することが議論の効率化のために望ましい。 ● 前回評価時の指摘事項で「世界市場への展開や国際標準化も見据えて・・・」という指摘があったにも関わらず、標準化戦略は非常に不明瞭に感じ、国際標準化が回避されているように感じた。知財化戦略にも特色が感じられなかった。 ● 海外の競合（大手サプライヤー）によるワンストップシヨップ化に対抗するための「日本独自の特色・競争力」を獲得するための戦略として、企業連合の競争力の向上と、本事業の知財戦略・標準化戦略に書かれた内容は合致しないように感じた。 ● 今回の知財化戦略によって、企業連合の競争力が向上するように理解できなかった。 ● 標準化戦略における「デファクトスタンダードを目指す」はあまりにも曖昧な記載で、日本が国際競争力を勝ち取る最適な戦略に思えなかった。ISOやICHとの連携の記載も非常に曖昧である。 ● 標準化戦略については、ISOやJISのような既存のシステムでの採択を目指すのではなく、成果を企業に採用してもらい、各社が薬事当局との議論を通じて最 	<p>本事業では、支援対象としている研究開発の内容が多様で、事業全体としての知財戦略・標準化戦略を詳細に設定するのが難しく、評価資料では一般的な内容となっています。また、競争領域の内容が含まれるため、非公開としていますが、具体的な戦略等は、各採択事業者が個別に設定しており、AMEDにて適切に進捗管理および評価を受けております。更に、国際標準化に関して、日本は遺伝子治療の研究開発で世界から遅れを取っていることから、まずは国際標準に準拠した技術となるように情報収集を努め、この事業で見出したHAT細胞関連技術や品質評価技術など国際的に優位性を示す事が可能な技術では国際標準化を目指すように2024年度から開始している「遺伝子治療開発加速化研究事業」では、各採択事業者に促します。</p>

<p>最終的にデファクトスタンダードを目指す方針が示されているが、具体的な方法論やKPIなどの評価指標が明確ではなく、中間評価時点から引き続き課題として残っているように感じられた。</p> <ul style="list-style-type: none"> ● 本事業は知財・標準化戦略検討が主軸ではないと思うが、米国では2024年にCAR-Tとゲノム編集技術のガイダンスが発出され、In vivo 遺伝子治療でも検討が進む可能性があるため我が国が標準化の動きに遅れないよう最新の議論状況の把握が必要と考える。 	
<ul style="list-style-type: none"> ● ベクター産生細胞に関しては、ISO 23033に沿った重要品質特性の説明と試験方法の妥当性確認、近日発行のJIS Q 2101に沿った製造プロセスの安定化を実施して欲しい。特に、この特性評価に基づき優位性を説明できると好ましい。また、ベクターに関しても、国際規格案として近日公開されるISO/DIS 16921-2に沿った力価及び活性の定量化をお願いしたい。 	<p>発行済み、および開発中の標準の情報を共有頂き、ありがとうございます。2024年度から開始している「遺伝子治療開発加速化研究事業」では、これら標準に沿った研究開発となるよう各採択事業者に促します。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ● 本事業で多数行われたはずの「技術優位性やポジショニングの把握情報」に立脚しているのかが不明瞭に感じた。最新の世界情勢に合致した戦略であることが明確に理解できるような各種戦略の説明・表記が必要ではないかと思われた。 	<p>AMEDの管理のもと、各事業者には最新の世界情勢に合致した戦略を立案し、研究開発を実施して頂いております。ただし、その戦略に競争領域の内容が多いことから、公開することが困難であったため、評価資料中に記載できておりません。今回のご指摘を踏まえ、どのような情報公開が可能かAMEDと再協議し、今後の中間・終了時評価での反映を検討いたします。</p>

(2) 目標及び達成状況

問題点・改善点・今後への提言	対処方針・見解
<ul style="list-style-type: none"> ● アウトプットの確立数が計画を大幅に上回った点は評価すべき点である一方、当初の計画立案の際の検討が十分であったか検証が望まれる。 ● アウトカム実現のための構成要素は、アウトプット目標として必須であるので、 	<p>遺伝子治療の研究開発で世界から遅れを取っている日本で、ここまでの成果が得られた事は、想定外だったと言えますが、アウトプットの指標や目標値は、アウトカム実現に向けて、事業立案時に市場環境等について情報収集したうえでAMEDや業界関係者と議論を重ねて設定したもので、適切</p>

<p>件数だけの管理が妥当であるか、今後検討いただきたい。</p>	<p>であったと考えております。ただし、アウトカム実現に向けて、アウトプットの指標や目標値の管理方法が適切だったかは、アウトカム長期目標の達成状況で判断します。</p>
<p>● 技術確立の判断方法は明確にされていたのでしょうか？ 例えば、培地開発は ISO 20399、製造装置は ISO/TS 23565 への適合が検証されていないと実用化におけるリスクとなるため、確認いただきたい。</p>	<p>研究開発項目が多様なため、技術確立の判断方法を一律に設定するのは困難でした。そのため、確立の判断は各採択事業者の自己申告となっておりますが、それらが AMED にて作成される中間・事後評価報告書（非公開）から、齟齬が無い事を確認しております。また、培地開発、製造装置に関しまして、AMED の管理のもと、適切な戦略で研究が実施されております。</p>
<p>● 人材の育成、日本の不足する経験と知識の急速な底上げのために、この事業の技術、知識経験の日本の業界や学界へのより詳細な公開を単会ではなく、論文も網羅してテキストやまとまった講習会として手厚く行っていただくと事業価値が大きく高まるものと考えます。</p> <p>● 標準化戦略と関連し（今回はそもそも目標値として設定されていなかったのかもしれないかもしれませんが）、アウトリーチ的内容が少ないと感じた（標準化戦略が曖昧なため）。</p> <p>● デファクトスタンダード化を目指すのに、社会的アピランスや、海外に対する発信（論文のような個別技術ではない）が少ない。検索してもほとんど本事業の成果が一般情報として検索できない。この状況でどうしてデファクト化を達成できるのか疑問に感じた。</p> <p>● 今後、プレスリリース、海外発信、MAB 組合の HP 発信や動画などの公開などを積極的に長期的視野で行うことが期待された。</p> <p>● 本事業成果の社会実装実現力を理解するための情報発信、海外の例になぞらえればホワイトペーパーの発行、などが求められるように感じた。</p>	<p>AMED が主催の成果報告会などは行いましたが、MAB 組合の成果が全く見えないとのご意見は、MAB 組合に参画しない企業からも頂いております。ご指摘の通り、情報を必要としている方々に情報が届いていない現状は、国の事業として大きな問題と考えております。論文や特許以外の発信手段として、頂いた案（定期的は講演会の開催、ホワイトペーパーの発行、プレスリリース、海外発信、MAB 組合の HP 発信や動画などの公開など）を参考にして、2024 年度から開始している「遺伝子治療開発加速化研究事業」では、MAB 組合に情報発信を促します。</p>

<ul style="list-style-type: none"> ● 製薬企業との連携や、実際の日本国内への供給などの実現体制はどこまで進んだのか、が見えにくいと感じた。 	
<ul style="list-style-type: none"> ● 一般的な AAV の製造コスト構造は、製造費が 70%、原材料費が 30% を占めており、抗体医薬品のようにプロセス改善による上流・下流工程の期間短縮が期待しづらいことを踏まえると、生産性向上のための高機能宿主細胞の開発やトランスフェクション技術等への注力が重要と考えられる。 	<p>ご指摘頂いた生産性向上のための高機能宿主細胞の開発やトランスフェクション技術等の技術開発・製造応用は非常に重要な事と認識しております。2024 年度から開始している「遺伝子治療開発加速化研究事業」では、HAT 細胞を基本として生産性向上に繋がる技術開発・製造応用に注力しております。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ● 本領域は臨床 POC 取得シーズで使用された技術であることが大きな優位性に繋がるため、開発技術を実装したシーズの治験の加速を支援することも引き続き必要と考える。 	<p>ご指摘頂いた通り、研究開発した製造技術は、まずは臨床 POC 取得シーズに使用される事が重要と認識しております。2024 年度から開始している「遺伝子治療開発加速化研究事業」では、技術開発をする事業者と臨床研究を行う事業者がコンソーシアムを組んで研究開発課題に取り組んで頂き、臨床 POC 取得を目標として頂いております。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ● 残留タンパク質を大幅に低減させる精製技術がマウスに有効であることは評価に値するが、ヒトに投与する際の上限の設定・検証をどう考えるかが今後の課題と思われる。 	<p>2024 年度から開始している「遺伝子治療開発加速化研究事業」では、指摘頂いた点を課題の一つとして検討頂く予定になっております。</p>

(3) マネジメント

問題点・改善点・今後への提言	対処方針・見解
<ul style="list-style-type: none"> ● アウトプットとして 58 件の技術確立を達成しているが、研究開発項目（表 4～9）として計 50 件しか挙げられておらず不整合がある。検討した技術ごとに課題バラシを行い、それぞれの課題ごとに実施事項とスケジュールを具体化したガントチャートを作成して、進捗管理を行うと良かった。 	<p>一つの研究開発項目から複数の技術が見出されておりますが、ご指摘の通り紐付けはされておられません。ご指摘頂いた情報粒度のガントチャートも存在し、そちらで AMED は進捗管理をしているのですが、競争領域の検討内容が多く記載されていることから、公開することが困難であったため、評価資料中の予実表は、AMED と協議し、終了時評価にて公開することを重視したものとなっております。今回のご指摘を踏まえ、どのような情報公開が可能か AMED と再協議し、今後の中間・終了時評価での反映を検討いたします。</p>
<ul style="list-style-type: none"> ● 今後長期的なアウトカム達成と標準化に向けて、「MAB 組合がどう持続され得る 	<p>MAB 組合は「遺伝子治療開発加速化研究事業」でも採択事業者となっておりますが、</p>

<p>のか」「競争力を作る原資はどこから来るのか」や、「遺伝子治療開発加速化研究事業」においてどう発展されるのか、モチベーションはどうなるのか、についてもう少し記述があった方がよいと感じた。</p>	<p>ご指摘頂いた内容は十分に議論されておらず、大きな課題と考えております。今後、AMED と連携しながら、MAB 組合と議論し、「遺伝子治療開発加速化研究事業」の中間評価までにご指摘頂いた項目について検討いたします。</p>
<p>● 治験シーズへの技術実装を加速し、業界内での技術のプレゼンスを構築するために、実施体制の中に製薬企業との共同研究等をコーディネートする機能があるとよりよいのではないか。</p>	<p>ご指摘頂いたことは、技術実装の加速化に重要な点と考えております。まずはAMED 内にて、そのような機能を構築できないか検討いたします。</p>
<p>● 例えば、複数の技術開発を行った精製技術の開発においては、方法を絞り込み、最終選択などのマイルストーンを設けてプロジェクト管理を行っていたか、検証いただきたい。</p>	<p>精製技術に関しては、製品ごとの特性に対応するため、複数の技術が必要と考えているため、本事業で方法を絞り込むなどのプロジェクト管理方法は取っておりません。2024 年度から開始している「遺伝子治療開発加速化研究事業」では、ご指摘頂いた観点で研究開発を注視し、管理が必要になった際は、PSP0 の判断のもと、適切に対応致します。</p>

第2章 評価ワーキンググループの所見と その対処方針

終了時評価（2024 年度）

所見	対処方針
※ 評価WGの指摘を記載する。	※ 個々の指摘に対して対処方針を記載する。

中間評価（2022 年度）

所見	対処方針
● アウトプット目標とアウトカム目標に向けて順調に進捗しており、目標達成に向けて頑張っていたきたい。また、成果を後継事業にも活かしていただきたい。	引き続き目標達成に向けて事業を進めていく。また、1期事業で開発した成果についても後継事業に引き継いでいけるよう検討していく。

事前評価（2018 年度）

所見	対処方針
<p><研究開発の実施・マネジメント体制等の妥当性></p> <ul style="list-style-type: none"> ● 予算の戦略的な有効活用を含め、全体のマネジメントに留意をすること。 	<p>遺伝子治療薬の製造に熟知している指揮官を確保することでマネジメント体制を強化し、出口に向けて着実にプロジェクトを進めていく予定です。また、事業を進める中で生じる課題を研究実施者等と整理し、プライオリティの高い課題から取り組むことにより予算の戦略的な有効活用にも努めてまいります。</p>
<p><研究開発内容及び事業アウトプットの妥当性></p> <ul style="list-style-type: none"> ● 関係省庁、PMDA との連携を確実に実施し、将来の戦略につながるように推進すること。人材育成も大きな目標の一つとして実施すること。 	<p>遺伝子治療薬を上市するためには、規制当局である厚労省、PMDA との連携は必須であり、事業途中においても必要に応じて助言等をいただく機会を設ける予定です。また文科省事業で開発した新たなシーズを産業化の観点から本事業で引き続き開発するためにも、これら関係者が密に意見交換を行い、研究開発の方向性を検討する委員会を設置して、シームレスな連携を目</p>

所見	対処方針
	指して実施してまいります。産業人材育成のための専門家向けの教材の作成を進めるとともに、集中研究等の施設を活用して実務人材の育成にも努めてまいります。

第3章 評価対象事業に係る資料

遺伝子治療製造技術開発
【上位事業：再生医療・遺伝子治療の産業化
に向けた基盤技術開発事業】
(終了時評価)
評価用資料

2024年11月22日

商務・サービスグループ 生物化学産業課

事業基本情報

1

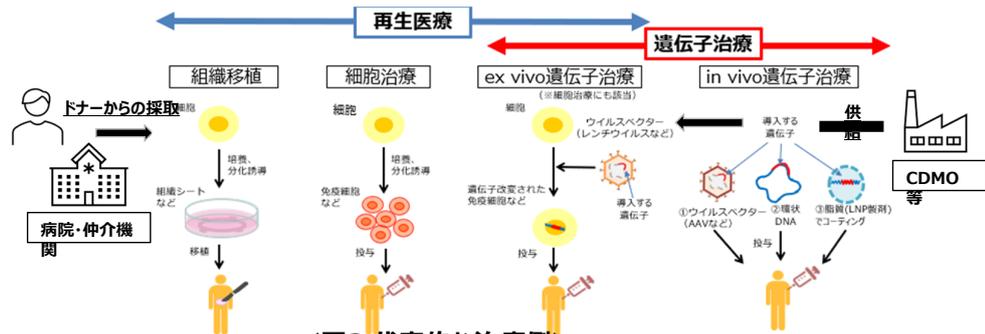
事業名	遺伝子治療製造技術開発 【上位事業：再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業】						
事業期間	2018年度～2023年度 評価時期：事前（2017年度）、中間（2022年度）、終了時（2024年度）						
予算額	2018年度	2019年度	2020年度	2021年度	2022年度	2023年度	総額
(予算)	13.0億円	12.6億円	12.6億円	13.0億円	13.1億円	12.8億円	77.2億円
(実績)	13.0億円	48.6億円	14.5億円	25.9億円	17.7億円	14.7億円	134.4億円
実施体制	METI（補助金） → AMED（委託） → 大学、民間企業など						
事業目的	<p>再生医療・遺伝子治療は、従来の医療技術では治療不可能だった疾患の改善が可能であり、こうした革新的な医療技術が今後連続的に実用化され、産業として拡大し経済発展に貢献すると同時に、難病の根本的治療により医療費増加も抑制することで、経済の成長と健全な医療の2つを両立する社会の実現が期待されることから、政府の定める「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画（2024年6月21日閣議決定）」には「ゲノム創薬を始めとする次世代創薬、iPS細胞等の再生医療・創薬、細胞医療、遺伝子治療の取組を推進」と定められており、これらモダリティに関する製造基盤技術の開発を実施することとしている。</p> <p>細胞・遺伝子治療の市場は年成長率約50%で急成長しており、2028年には7兆円超に到達する見込みとなっていることから、欧米でも遺伝子治療の研究開発が進んでおり、数多くの開発品、上市品を生み出している。現在、日本でもウイルスベクターを用いたin vivo遺伝子治療の研究開発が活発に行われており、今後の実用化がさらに加速していくと考えられている。一方で、遺伝子治療で用いられるウイルスベクターにつき、現状は海外産に依存しているが、価格が非常に高いため遺伝子治療薬は数千万～数億円と高額化しているほか、品質にも懸念があり、薬害事象も発生している。これらの課題が遺伝子治療の産業化で障壁となり、多くの患者さんに治療を届けるのは不十分な状況となっていることが社会課題である。</p> <p>本事業では、遺伝子・細胞治療の実用化のためのベクター製造技術の開発のため、わが国に点在する多様な要素技術を可及的速やかに結集させ、わが国の高度な技術力とネットワーク力を生かして、先端的な遺伝子・細胞治療のために必要な高度な製造技術、安全性向上技術等の研究開発を加速化し、医療現場に革新的な治療法を提供することを目指す。なお、本事業は産構審の政策評価：政策テーマ4③目標①新規サービスの創出・拡大（ヘルスケア・医療・福祉バイオ）と関連している。</p>						

再生医療・遺伝子治療は、従来の医療技術では治療不可能だった疾患の改善が可能である（図1、2）。こうした革新的な医療技術が今後連続的に実用化され、産業として拡大し経済発展に貢献すると同時に、難病の根本的治療により医療費増加も抑制することで、経済の成長と健全な医療の2つを両立する社会の実現が期待されることから、政府の定める「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画（2024年6月21日閣議決定）」には「ゲノム創薬を始めとする次世代創薬、iPS細胞等の再生医療・創薬、細胞医療、遺伝子治療の取組を推進」と定められており、これらモダリティに関する製造基盤技術の開発を実施することとしている。

品質が安定しない、製造費が高額といった課題が遺伝子治療の産業化で障壁となり、多くの患者さんに治療を届けるのは不十分な状況となっていることが社会課題である。

本事業で「再生医療・遺伝子治療の製造基盤強化」に寄与し、産業化に向けたこれら課題を解決することで達成される「健康長寿社会の実現」及び「産業競争力の向上」の実現が、目指すべき将来像である。

<図1 一般的な再生医療・遺伝子治療のプロセス>



<図2 代表的な治療例>



遺伝子治療は年率約50%の高い成長が見込まれており、開発品数も増える中で今後更なる市場拡大が見込まれている。また、根本治療が可能であることから他モダリティに対して強い競争優位性があるため、世界中で開発が進められている。しかし、遺伝子治療で必要となるウイルスベクター（遺伝子の運び屋）を大量に生産する技術が日本では確立されておらず、必要な原料・技術を海外に頼らざるを得ない状況である。また、海外においても、生産効率の低さによる製造コストの高さや、大量および安定した品質の製造が困難なことから安全性に関する懸念は解決されていない。よって、製造上の技術課題が解決できれば、急速に拡大する遺伝子治療市場を獲得できる可能性が高い。

そこで、本事業では、国際競争力のある高品質で安全性の高い遺伝子治療用ウイルスベクターの製造・評価技術等を開発し、品質が安定しない、製造費が高額といった産業化の課題を解決することで、遺伝子治療の開発が推進され、多くの患者さんに遺伝子治療を届けることを目的とする。

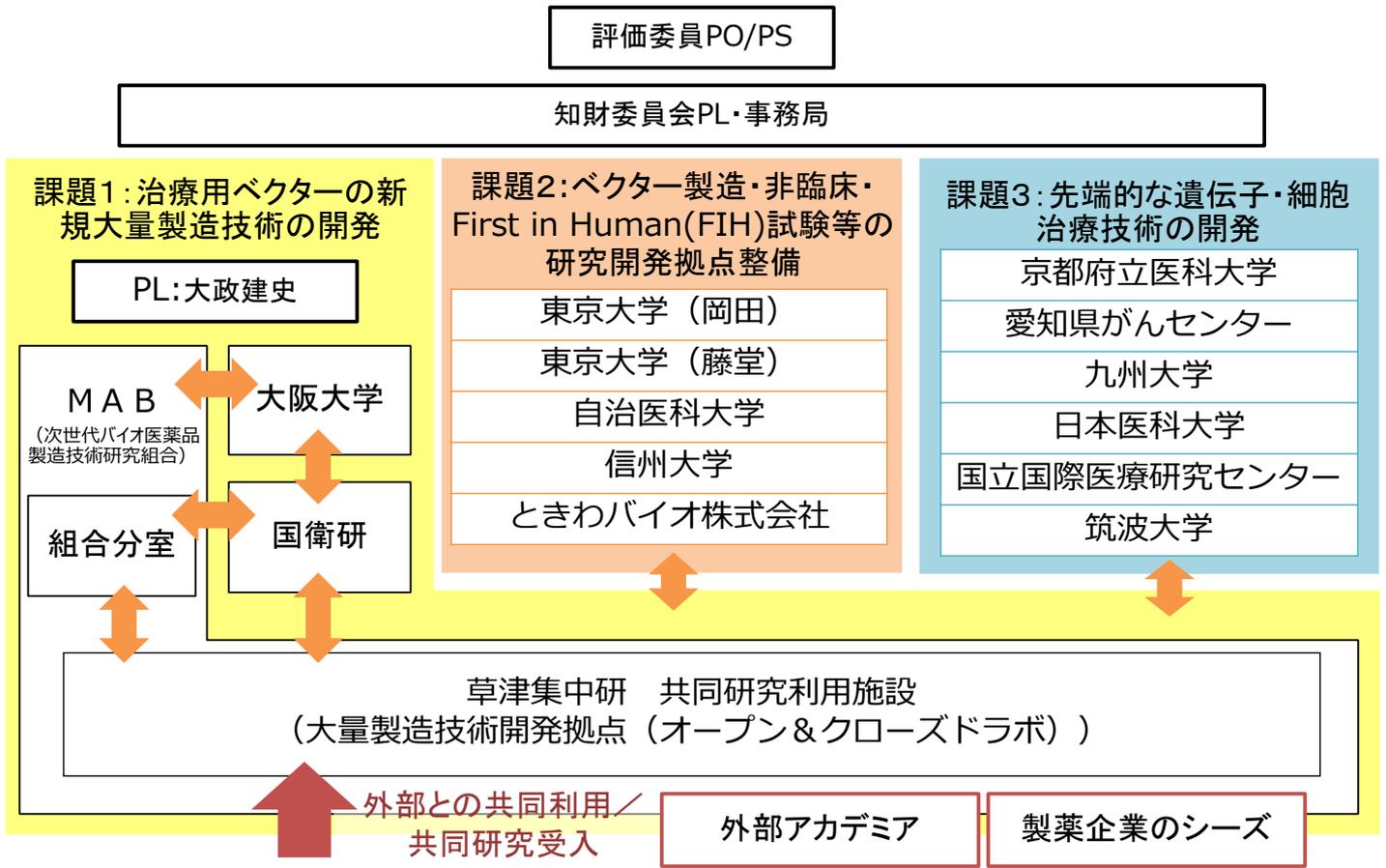
<表1 モダリティ別将来市場予測 >

医薬品モダリティ	定義	グローバル市場規模 (\$m)			グローバル開発品数 ¹
		2021年	2028年	年成長率	
再生・細胞医療	■ iPS化以外の遺伝子改変を行っていない細胞を生体に投与する治療法	595	11,038	52%	1,206
Ex vivo遺伝子治療	■ 遺伝子を改変した細胞を生体に投与する治療法	1,712	25,890	47%	867
In vivo遺伝子治療	■ 生体に遺伝子を導入し生体の遺伝子を編集する治療法 ■ 本調査においては腫瘍溶解性ウイルスを除く	1,438	26,672	52%	811
核酸医薬	■ 数十bp程度の塩基長のDNAもしくはRNAを生体に投与し、タンパク質の発現/機能阻害を行う治療法	3,329	23,220	32%	559
mRNA医薬 ²	■ mRNAを生体に投与することで、コードされたタンパク質を発現させる治療法	0 (58,016)	4,036 (18,199)	N/A (-15%)	150 (190)
抗体医薬	■ 抗体を生体に投与することで、中和、アゴニスト、アンタゴニストなどとして作用させる治療法	189,393	322,037	8%	3,072
ADC ³	■ 抗体にリンカーを介して低分子物質を結合させ、標的細胞への低分子の送達性を向上させたもの	5,320	26,754	26%	546
ペプチド医薬 ⁴	■ アミノ酸数十程度の分子量のペプチドを生体に投与し生理活性物質として作用させる治療法	45,784	74,261	7%	346
タンパク質医薬 ⁴	■ タンパク質を生体に投与し、生理活性物質として作用させる治療法	58,869	72,148	3%	1,036
病原体生物等 ²	■ 継代培養や化学処理等により弱毒化又は無毒化した病原体を投与することで、免疫記憶を誘導する治療法	14,945 (34,048)	20,810 (21,878)	5% (-6%)	133 (160)
有機化合物	■ 薬理作用を持つ化合物を生体に投与する治療法（低分子医薬など）	401,975	581,242	5%	11,856

¹ 前臨床以降の開発品を品目ごとにカウント ² mRNA医薬と病原体生物等はCOVID-19関連の品目を除く。 COVID-19関連の品目を含む値は参考としてカッコ内に記載した

³ ADC: Antibody-Drug Conjugate ⁴ 本調査においてはワクチンを除く

出所: Evaluate Pharma (検索月: 2022年10月) よりアサー・ディ・リトル作成



(参考) 事業での研究開発内容

評価項目3

研究開発項目	実施者	
課題1. 遺伝子・細胞治療用ベクター新規大量製造技術開発	次世代バイオ医薬品製造技術研究組合	
課題2. 遺伝子・細胞先端的技術研究開発	高品質遺伝子治療ベクター製造法の確立に向けた戦略的技術基盤	東京大学
	AAVベクター遺伝子治療/ゲノム編集治療/CAR-T療法に関する研究開発	自治医科大学
	日本発がん治療用ウイルス開発の革新技术研究拠点	東京大学
	日本発の遺伝子改変T細胞の実用化を促進するための、霊長類モデルを用いた安全性評価系の基盤整備	信州大学
	安全性の高い遺伝子・細胞治療を実現するステルス型RNAベクター技術の確立	ときわバイオ
課題3. 先端的な遺伝子・細胞治療技術開発 (若手枠)	RNA工学とペプチド工学の融合による生体内ゲノム編集治療のための技術基盤の開発	京都府立医科大学
	エピジェネティクス改変による持続的に疲弊を起こさない抗腫瘍T細胞の開発と養子免疫療法への応用	愛知県がんセンター
	活性調節型CRISPR/Cas9による完全遺伝子修復治療法の開発	九州大学
	大腸菌内でのゲノム進化を利用したヘルペスウイルスベクターの新規変異体作製	日本医科大学
	革新的幹細胞培養技術に基づいた造血幹細胞遺伝子編集の開発研究	国立国際医療研究センター
	新規高核局在性Cas9による高効率in vivoゲノム編集法の開発	筑波大学

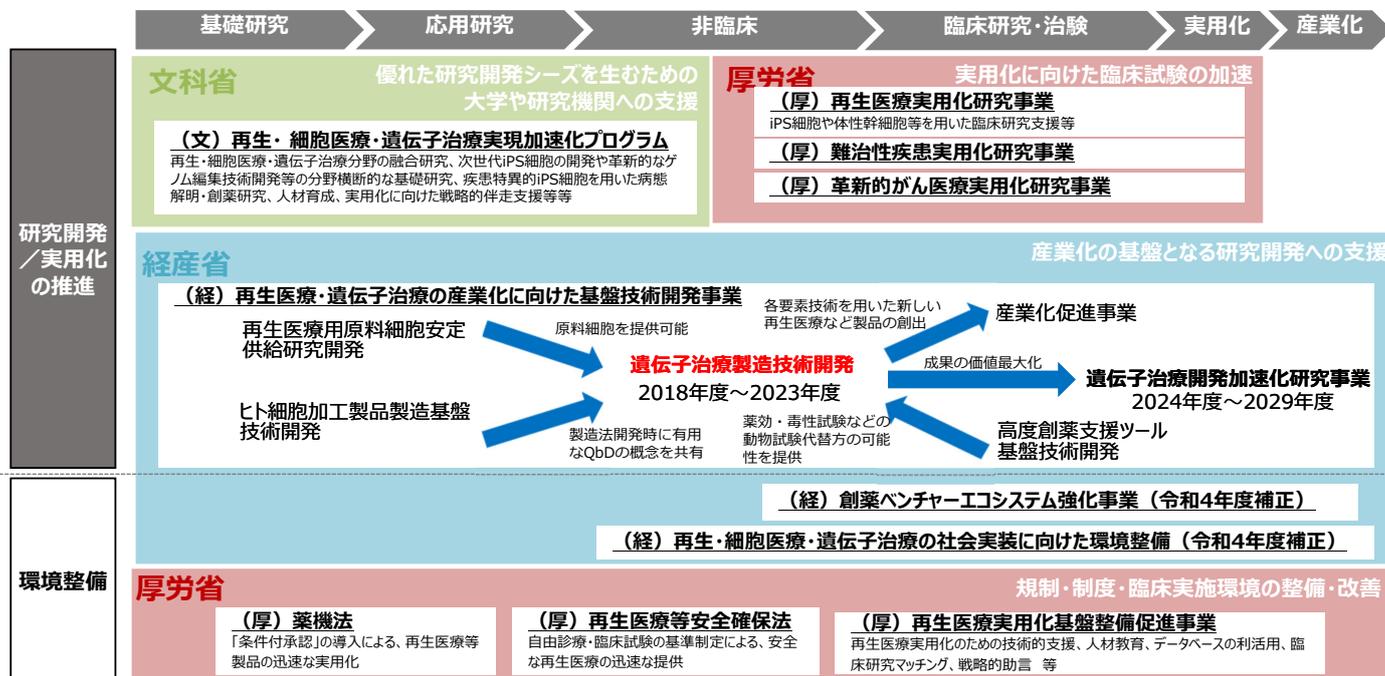


他事業との関係（他省庁との役割分担）

遺伝子治療の推進に向けては、特に以下のような課題が存在する中、文部科学省・厚生労働省・経済産業省で連携して総合的な支援を行っている。

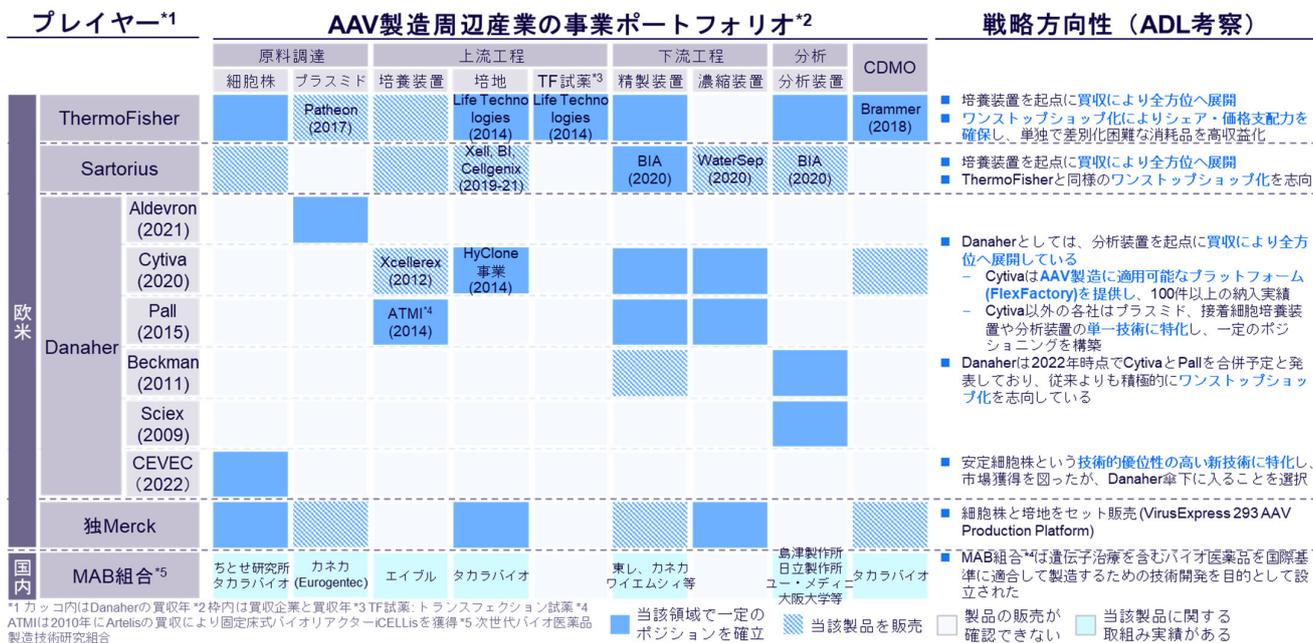
- ①製造・評価に係る技術的課題の解決 【本事業】
- ②環境整備
 - ・規制・制度環境 【厚労省等】
 - ・臨床環境 【厚労省等】
 - ・事業環境（資金調達・収益化） 【経産省補正予算等】
- ③革新的なシーズの充実 【文科省等】

＜図3 他事業との関係図＞



- ・ 欧米の大手サプライヤーはM&Aによりワンストップショップによる強大な参入障壁を構築している（図4）。ThermoFisherやDanaherは分析装置や顕微鏡等の技術を含むライフサイエンス分野の企業を次々買収し、15年以上をかけて巨大化。
- ・ 日本はM&Aに長けておらず、同様の戦略は困難。国内サプライヤーが互角に戦うには企業連合の競争力を向上させる必要があるため、本事業では企業やアカデミアがコンソを組むことを公募条件とした。結果、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合（以下、MAB組合）が採択され、効率的な研究開発が行われた。

＜図4 AAV製造周辺産業の事業ポートフォリオ＞



（出典）令和4年度内外一体の経済成長戦略構築にかかる国際経済調査事業 バイオ医薬品・再生医療等製品の技術開発及びバリューチェーンに関する動向調査
アーサー・ディ・リトル・ジャパン株式会社

前回評価時の指摘事項と対処方針

前回評価時（2022年度）の問題点・改善すべき点

（評価検討会）

1. 開発した要素技術のうち、これまでの製造プロセスを凌駕するようなプロセスにつながるものを選択し、その技術を用いた一貫通貫の製造プロセスを仕上げることを期待する。
2. 遺伝子治療の領域の研究開発は世界中で非常に活発に行われている中、成果創出に向けてさらに事業を加速化すべき。事業アウトカムである臨床研究の推進に向けて、課題1と課題2の拠点との連携を強化し、治験実施体制（人材、設備）の構築を進めるほか、本事業がベンチャー等による実用化の支援を担うハブとして展開していくことを期待する。
3. 既に目標を達成していることは評価できるが、今後、国際的な競争環境やその中での本課題の技術的優位性やポジションを随時把握し、世界市場への展開や国際標準化も見据えて見直していくことが望ましい。また、局所投与での臨床研究のみならず、今後大量製造技術が必要となる全身投与の件数も評価することが望ましい。

（評価WG）

4. アウトプット目標とアウトカム目標に向けて順調に進捗しており、目標達成に向けて頑張っていたきたい。また、成果を後継事業にも活かしていただきたい。

【対処方針】

1. 最終年度となる2023年度には、有望な要素技術を抽出し活用した製造プロセスにおいて50LでのAAV製造実証を行い、その結果を踏まえて更なる技術向上を図る。
2. 最終年度となる2023年度には、課題1の拠点で製造・品質評価を行ったウイルスベクターについて、課題2の研究者がin vivoで有効性・安全性の評価を行うほか、課題1で開発した要素技術を用いた課題2での創薬開発推進をさらに推進するなど、連携を更に強化する。また、MAB組合での共同研究の積極的な受入れや、会員の一般社団法人バイオロジクス研究・トレーニングセンター（以下、BCRET）による遺伝子治療、細胞治療製品の開発・製造等での人材育成（実習講習）の実施により、事業外のベンチャー等による創薬開発支援も強化し、遺伝子治療の産業化を加速化する。
3. 現在検討している後継事業の実施に当たっては、定期的に委託調査を行うことで国内外の開発動向を適切に把握し、事業の方向性やアウトカムを随時見直していく。
4. 引き続き目標達成に向けて事業を進めていく。また、1期事業で開発した成果についても後継事業に引き継いでいけるよう検討していく。

【対処状況】

- 大量製造に関連する要素技術や評価法開発を、50Lスケールで実証検討し、製造の実現性を確認した（スライド P15 1から9段落目、P17 7から9段落目、P18 3から7段落目、10から15段落目、P19 1から11段落目に該当）。（対処方針1）
- MAB組合内での共同研究の受入れ：36件（スライド P17:7段落目からP19 12段落目までに該当）、BCRETでの人材育成：実習講習21回、参加者163名（対処方針2）
- 課題1、2ともに国際的に競争力のある要素技術が見出され、課題連携のタスクをその技術の基盤確立に費やしたため（スライド P15 1段落目からP19 11段落目までに該当）、2023年度に課題間で連携した取り組みを実施しなかった。本事業の成果の価値を最大化させるため、2024年度から実施する「遺伝子治療開発加速化研究事業」では、事業開始当初から課題間の連携を事業者に促すと共に委託調査などで開発動向などの情報収集を図る。（対処方針2、3、4）

評価項目 1. 意義・アウトカム(社会実装)達成までの道筋

- ※本事業は、中間評価時からアウトプット目標、アウトカム目標を整理、変更したため中間評価時のアウトプット目標、アウトカム目標が現在のものと異なっている。
- ※中間評価時、アウトカム目標を一つ設定するフォーマットだったので、現行のフォーマットに沿うように短期目標、長期目標を設定した。
- ※中間評価時、アウトカム目標を「本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数 5件」としていたが、事業の中で国際的に競争力のあるウイルスベクター産生細胞（HAT細胞）を見出すという特筆すべき成果が得られた。そこで、このウイルスベクター産生細胞の特性解析とマスターセルバンク化の前段階として必須なリサーチセルバンク化の検討に注力することに事業の方向性を変更した。事業期間内でのリサーチセルバンク化は非現実的だったので、事業終了後の**アウトカム短期目標**として「**本事業で開発したウイルスベクター産生細胞をリサーチセルバンク化した件数 1件**」を追加した。新規に目標を追加した代わりに中間評価でアウトカム目標としていた臨床研究数を減らし、「**本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数 3件**」とした。そして、**アウトカム長期目標**の時期にはHAT細胞のマスターセルバンク化が期待できることから、その目標を「**本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数 6件（蓄積）**」とした。
- ※中間評価時、アウトプット目標を中間目標のみ記載するフォーマットだったので、現行のフォーマットに沿うように最終目標を追加した。

<中間評価当時のアウトカム指標・目標>

本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数 5件

<中間評価当時のアウトプット指標・目標>

中間目標：ベクター製造に係る各要素技術の確立、及び各要素技術を組み合わせた製造システムの確立数 12件

【中間評価当時の問題点・改善すべき点】

既に目標を達成していることは評価できるが、今後、国際的な競争環境やその中で本課題の**技術的優位性やポジション**を**随時把握し、世界市場への展開や国際標準化も見据えて見直していくことが望ましい。**

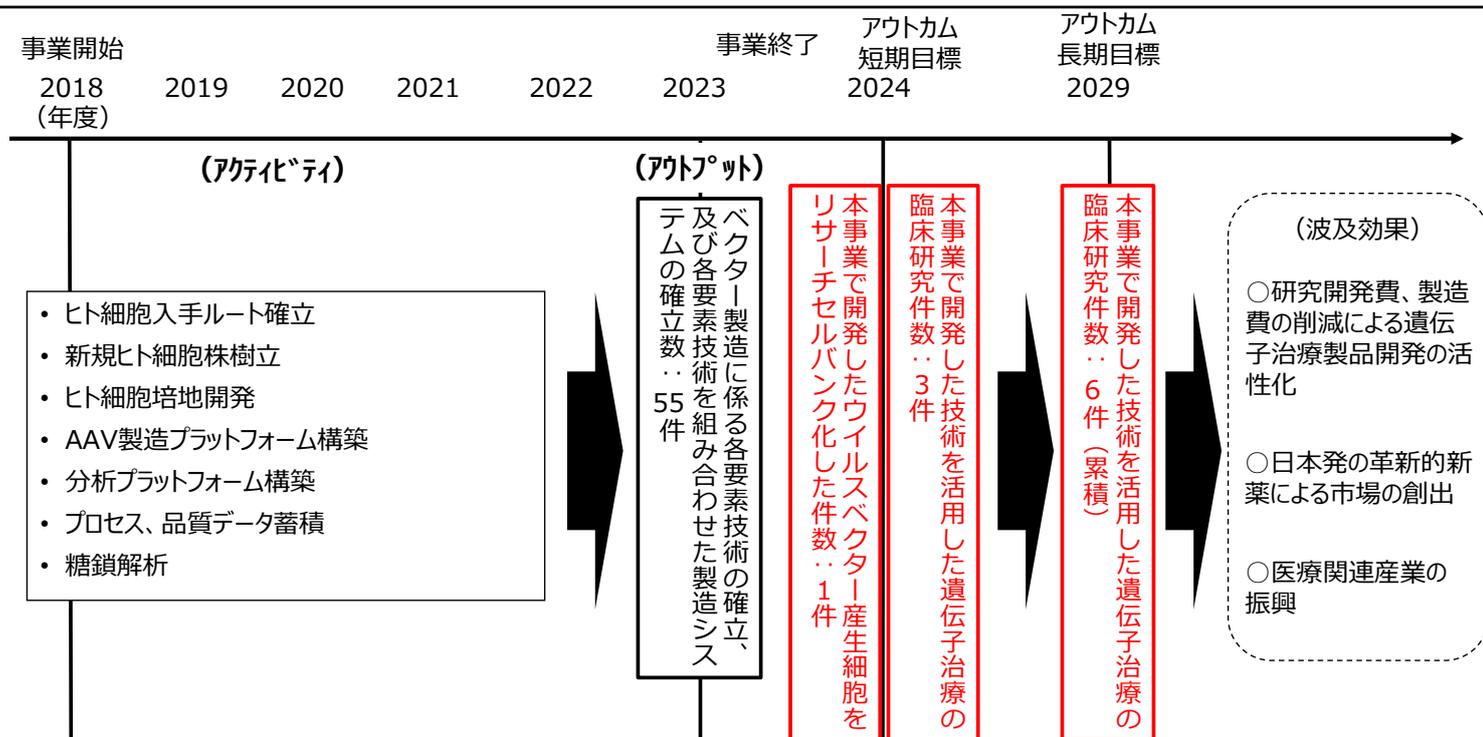
【中間評価当時の対処方針】

委託調査を行うことで国内外の開発動向を適切に把握し、**事業の方向性やアウトカムを随時見直していく。**

1-2. アウトカム達成までの道筋（ロードマップ）

アウトカム目標

- 短期：本事業で開発したウイルス産生細胞をリサーチセルバンク化した件数・・・1件
- ：本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数・・・3件
- 長期：本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数・・・6件（累積）



<図5 本事業のロードマップ>

【知的財産戦略】

プロジェクト全体の知的財産マネジメント管理に関しては、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合が事務局となって次世代バイオ医薬品製造技術研究組合知的財産権取扱規約を設け、

- ①複数の研究開発課題で協力して成果が出た場合には、知的財産権の持分は原則として発明等への貢献度に応じて定めるものとする
- ②研究開発成果の取扱い・運用等に関して必要な事項について協議・決定するため、プロジェクトリーダー、分科会長、統括を含むサブプロジェクトリーダー、研究開発事業企画室長、抗体製造技術開発事業部長、遺伝子・細胞治療薬製造技術開発事業部長、事務局長、知的財産部長、知財コーディネータ及びプロジェクトリーダーが指名する委員の全部又は一部で構成する知財管理委員会を設置すること
- ③発明等を創製した際の事務局への届け出や特許出願、第三者への実施許諾に係る手続きなどを定め、適切な管理に努める。

【標準化戦略】

遺伝子治療分野の技術開発においては安全性評価が極めて重要でありつつも、それに関する規制当局の考え方は必ずしも確定していない。ISO/TC 276(バイオテクノロジー)では、遺伝子治療の特性評価に関する規格化が進められている。その一方で、レギュラトリーサイエンスの観点から技術開発を進め、規制当局においてそれを議論するという規制対応のプロセスが先行していることから、現段階では活発な規格化というより、ISOやJISを目指した標準化戦略を取るのではなく、規制当局との対話をはじめとする規制受容に向けた取組を重視する動きが根強い。対話の中で形成されたコンセンサスや、事業で明らかとなった知見に関しては積極的に文書化して公開し、利活用を促すことで、デファクトスタンダードを得ることを目指す。米国においても、2022年度末に再生医療業界団体であるAlliance for Regenerative Medicine (ARM) がFDAと連携の上で自主的に遺伝子治療の製造・評価に関するスタンダードとして文書を発表するなど、類似の戦略が取られている。

規制の色が強い業界である一方、規制で議論される有効性・安全性の要求事項を満たす、製造方法・試験方法・評価方法などの規格との紐づけは有用で、本分野での標準化への取り組みは重要と言える。欧米中諸国が主導しISOやICHガイドラインに紐付けた議論が開始しそうな兆候など、標準化に係る動向の変化について不断に捕捉することも必要であり、事業実施者内や評価委員、PSPO等としてグローバルファーマの関係者に参画いただき、情報収集に努め、必要に応じて、標準化動向に関する委託調査を行うことも検討する。

評価項目 2. 目標及び達成状況

アウトカム指標		アウトカム目標	達成見込み
短期目標 2024年度	本事業で開発したウイルス産生細胞をリサーチセルバンク化した件数	1件	追加の調整費の効果もあり、品質試験など必要となる情報は取得済みであることから、十分に達成できる見込み。
	本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数	3件	達成済み。 (信州大学で見出されたPiggyBac法のex vivo遺伝子治療で3件)
長期目標 2029年度	本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数	6件(累積)	マスターセルバンク構築後のHAT細胞や信州大学で実施されたPiggyBac法のex vivo遺伝子治療が普及される事で、十分に達成できる見込み。

(設定理由・根拠)

遺伝子治療に必要なウイルスベクターについて、国内の生産技術が未成熟なため、高いライセンス料を支払い海外製に依存している事が、高額な製造コストの一因となっており、障壁となっている。

本事業で国立成育医療センターとちとせ研究所の協力の下、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合(MAB組合)の川崎集中研で、既存の海外製細胞株(HEK293)と同等以上の性能を示し、上記の課題を解決できる国産の新規ウイルスベクター生産用細胞候補株(HAT細胞)を樹立した。そこで、このHAT細胞を速やかに広く利用して貰うため、リサーチセルバンク化に注力することに方針転換し、短期アウトカム目標を「本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数 3件」、「本事業で開発したウイルス産生細胞をリサーチセルバンク化した件数 1件」とした。そして、アウトカム長期目標を「本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数 6件(累積)」とした。

(計測方法)

事業者からのヒアリングにより行う。

費用対効果

本事業に要した国費総額は、約134.4億円であった。

in vivo遺伝子治療は、2001年の抗体医薬と同じ導入期にあり、20年程度で10兆円市場に成長することが期待される魅力的な投資対象である。市場成長率は約50%であり、本事業で重点投資をしたことで、将来、大きな市場を獲得できる可能性が高い。

アウトプット指標		アウトプット目標	達成状況
中間目標 2022年度	ベクター製造に係る各要素技術の確立、及び各要素技術を組み合わせた製造システムの確立数	12件	49件(達成)
最終目標 2023年度		55件 (累積)	58件(達成) (累積) (内訳は次頁以降に記載)

(目標の設定理由・根拠)

本事業の目的は、国際競争力のある高品質で安全性の高い遺伝子治療用ウイルスベクターの製造・評価技術等を開発し、品質が安定しない、製造費が高額といった産業化の課題を解決することで、遺伝子治療の開発が推進され、多くの患者さんに遺伝子治療を届けることである。この目的を達成するため、アウトプット指標を「ベクター製造に係る各要素技術の確立、及び各要素技術を組み合わせた製造システムの確立数」とし、短期目標として12件を設定した(課題1のMAB組合の3つの分科会で各2件、国衛研で1件、課題2の5つの研究機関で各1件を想定した)。この値は、本格的に研究開発がなされる2019年度から毎年度3件程度にあたることから、事業終了時の2023年度には15件を長期目標として設定していた。しかし、中間評価時点で49件の要素技術を確立し、目標を大きく達成したので、最終目標を15件から55件に上方修正した。

(達成状況)

中間評価時点で49件の要素技術を確立し、目標を大きく達成したので、最終目標を15件から55件に上方修正したが、さらに多くの要素技術が見出され、計58件の要素技術を確立し、目標達成となった(内訳は次頁以降に記載)。

(計測方法)

事業者からのヒアリングにより行う。

開発者（所属）	開発技術	用途
内山 進（大阪大学）	従来法を利用した分析拠点整備・試験方法の確立	製品評価に関連する技術の確立
内山 進（大阪大学）	ウイルス粒子の純度検定	製品評価に関連する技術の確立
内山 進（大阪大学）	標準的対照用ウイルスベクターを用いた最先端評価・解析技術の確立	製品評価に関連する技術の確立
内山 進（大阪大学）	新検定基準の設定	製品評価に関連する技術の確立
内田和久（神戸大学）	AAVウイルスベクター核酸の構造決定と定量	製品評価に関連する技術の確立
内田和久（神戸大学）	AAVウイルスベクター以外の混入核酸の定量	製品評価に関連する技術の確立
野田尚宏（産業技術総合研究所）	ウイルスベクター品質管理に資する核酸標準試料・粒子標準試料の開発	製品評価に関連する技術の確立
大森 司（自治医科大学）	翻訳後修飾を受けたAAV-FIXの生物活性評価	製品評価に関連する技術の確立
山本 武範（国立医薬品食品衛生研究所）	ウイルスベクターの品質・安全性確保のための規制科学による評価	規制科学による評価の実施
中西 真人（ときわバイオ株式会社）	遺伝子治療用ステルス型RNAベクター（SRV）の開発と大量生産技術の確立	大量生産技術の確立
中西 真人（ときわバイオ株式会社）	ライソゾーム病（ムコ多糖症など）の遺伝子治療の開発	新規遺伝子治療の開発
中西 真人（ときわバイオ株式会社）	造血系細胞をターゲットとした遺伝性疾患に対する新規遺伝子治療法の確立	新規遺伝子治療の開発
中西 真人（ときわバイオ株式会社）	フェニルケトン尿症に対する遺伝子治療法の開発	新規遺伝子治療の開発
中西 真人（ときわバイオ株式会社）	免疫寛容誘導法の開発	新規遺伝子治療の開発

開発者（所属）	開発技術	用途
岡田 尚巳 河岡 義裕（東京大学医科学研究所）	高産生細胞株樹立に向けた機能検証	ベクター作製に関する技術の確立
岡田 尚巳 （東京大学医科学研究所）	ウイルスベクター高産生培地および高純度精製技術の開発	ベクター作製に関する技術の確立
岡田 尚巳 河岡 義裕（東京大学医科学研究所）	ベクター高感受性細胞の開発と安全性・有効性を向上させる技術の開発	ベクター作製に関する技術の確立
岡田 尚巳 （東京大学医科学研究所）	高度品質管理技術の開発	製品評価に関連する技術の確立
岡田 尚巳 （東京大学医科学研究所）	非臨床試験計画の評価と臨床応用	新規遺伝子治療の開発
長村 文孝 岡田 尚巳（東京大学医科学研究所）	臨床試験準備と導出マネジメント	新規遺伝子治療の開発
中沢 洋三（信州大学）	霊長類モデル非臨床安全性試験系の確立	安全性評価系の基盤整備
中沢 洋三（信州大学）	オープンラボを利用した非臨床安全性試験の受託	安全性評価系の基盤整備
村松 慎一（自治医科大学）	AAVベクターによる遺伝子導入技術開発	AAVベクター遺伝子治療
浅井 克仁（遺伝子治療研究所）	AAVGT5の試験製造	AAVベクター遺伝子治療
山形 崇倫（自治医科大学）	AAVベクター投与方法開発	AAVベクター遺伝子治療
小坂 仁（自治医科大学）	AAVベクターによる乳幼児への遺伝子導入技術開発	AAVベクター遺伝子治療
水上 浩明（自治医科大学）	AAVベクター遺伝子治療の基盤研究	AAVベクター遺伝子治療
ト部 匡司（自治医科大学）	AAVベクターのカプシドの糖鎖解析とその品質に及ぼす影響の評価	AAVベクター遺伝子治療
花園 豊（自治医科大学）	ゲノム編集治療の基盤研究（体外法）	ゲノム編集治療
大森 司（自治医科大学）	ゲノム編集技術（体内法）の安全性評価	ゲノム編集治療

開発者（所属）	開発技術	用途
大嶺 謙（自治医科大学）	CAR-T療法における細胞調製の最適化	CAR-T療法
久米 晃啓（自治医科大学）	治験プロジェクトマネジメント、カルタヘナ対応	規制対応
藤堂 具紀（東京大学医科学研究所）	がん治療用HSV-1の開発	がん治療用ウイルス開発
福原 浩（杏林大学）	がん治療用HSV-1の開発	がん治療用ウイルス開発
谷 憲三朗（東京大学 定量生命科学研究所）	がん治療用コクサッキーウイルスの開発	がん治療用ウイルス開発
中村 貴史（鳥取大学）	がん治療用ワクシニアウイルスの開発	がん治療用ウイルス開発
大政健史 蝶野 英人(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ベクター大量製造技術開発拠点整備	大量製造に関連する技術の確立
大政健史 蝶野 英人(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	大量製造に向けた連携評価	大量製造に関連する技術の確立
大政健史 蝶野 英人(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ベクター大量製造検証	ホスト細胞に関連する技術の確立
大政健史 蝶野 英人(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ホスト細胞の開発	ホスト細胞に関連する技術の確立
大政健史 岡田 尚巳(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ホスト細胞および高生産技術の開発（1）	ホスト細胞に関連する技術の確立
大政健史 堀内 貴之(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ホスト細胞の新規樹立および高生産性に向けた細胞育種技術の開発	ホスト細胞に関連する技術の確立
大政健史 前田 博文(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	高効率なベクター作製技術の開発	ベクター作製に関する技術の確立
大政健史 山地 秀樹(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	昆虫細胞を用いたベクター生産の基礎技術構築	ホスト細胞に関連する技術の確立
大政健史 宮川 世志幸(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ホスト細胞および高生産技術の開発（2）	ホスト細胞に関連する技術の確立

開発者（所属）	開発技術	用途
大政健史 中村 和昭(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	最適化ウイルスホスト細胞の原料となるヒト組織提供・初期加工体制の構築	ホスト細胞に関連する技術の確立
大政健史 堀内 貴之(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ホスト細胞の新規樹立および高生産性に向けた細胞育種技術の調査	ホスト細胞に関連する技術の確立
大政健史 藤村 祐(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ハイスループットベクター高産生株単離用シングルエマルジョン分注装置の開発	大量製造に関連する技術の確立
大政健史 蝶野 英人(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	高規格な遺伝子ベクター培養技術の開発	大量製造に関連する技術の確立
大政健史 石川 周太郎(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ベクター製造培養装置の開発	大量製造に関連する技術の確立
大政健史 松田 博行(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ウイルス生産用の大量培養装置の開発	大量製造に関連する技術の確立
大政健史 池田 和弘(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ヒト由来樹立細胞株を用いた、細胞ファイバ技術によるウイルス産生法の開発	大量製造に関連する技術の確立
大政健史 内山 進(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	少量多品種AAV製造プラットフォーム構築に向けた培養技術開発	大量製造に関連する技術の確立
大政健史 内山進(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	少量LV製造および品質分析	大量製造に関連する技術の確立
大政健史 蝶野 英人(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	高規格な精製技術の開発	精製に関連する技術の確立
大政健史 小屋松 祐一(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	遺伝子・細胞治療用ベクター精製用細胞分離膜およびプロセスの開発	精製に関連する技術の確立
大政健史 戸羽 純也(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	カラム法による精製技術の開発	精製に関連する技術の確立
大政健史 高橋 良輔(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ベクター精製用イオン交換精製用担体の開発	精製に関連する技術の確立
大政健史 前田 博文(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	新規アフィニティリガンド担体の開発及びそれを用いたウイルスベクター精製技術の開発	精製に関連する技術の確立
大政健史 山本 修一(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	バイオナノ粒子のクロマトグラフィー精製プロセスの開発	精製に関連する技術の確立

開発者（所属）	開発技術	用途
大政健史 中西 真人(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ステルス型RNAベクターのカラムによる精製法の開発	精製に関連する技術の確立
大政健史 堀 貴治(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	AAVベクターの捕捉・精製用レクチンリガンドの開発	精製に関連する技術の確立
大政健史 福原 彩乃(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	少量多品種AAV製造プラットフォーム構築に向けた精製技術開発	精製に関連する技術の確立
大政健史 岡田 尚巳(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	次世代プロセス分析技術の開発	製品評価に関連する技術の確立
大政健史 内山 進(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	遺伝子・細胞治療用ベクター新規大量製造技術開発における最先端分析及び関連技術開発	製品評価に関連する技術の確立
大政健史 内田 和久(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	rAAV産生細胞中のrAAV生産量の定量法の検討及びトランスフェクションに関する諸問題の検討	製品評価に関連する技術の確立
大政健史 小野寺 雅史(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	ウイルスの品質管理及び残存ウイルスの検出	製品評価に関連する技術の確立
大政健史 福原 彩乃(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	rAAVベクターの純度および凝集体の分析方法開発	製品評価に関連する技術の確立
大政健史 内山 進(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	クライオ電子顕微鏡による空/不完全/完全粒子（F/I/E）比決定	製品評価に関連する技術の確立
大政健史 内山 進(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	少量多品種AAV製造プラットフォーム構築のための少量品質分析および市販AAVとの品質比較	製品評価に関連する技術の確立
大政健史 古泉 幸子(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	実用的なAAV製剤の糖鎖モニタリング法の開発	製品評価に関連する技術の確立
大政健史 小野寺雅史(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)	小児難治性疾患に対する遺伝子・細胞治療の開発研究	先進医療開発
豊島 聡(一般社団法人バイオリジクス研究・トレーニングセンター（BCRET）)	遺伝子・細胞治療分野の実習プログラムの開発及び新拠点の整備	人材育成

2-2-2. 副次的成果・波及効果

- 大学院生、ポスドク、企業の若手研究員の研究関与が増えており、次世代の遺伝子治療研究者の底上げが期待される。

<表3 事業中の特許出願、論文発表一覧>

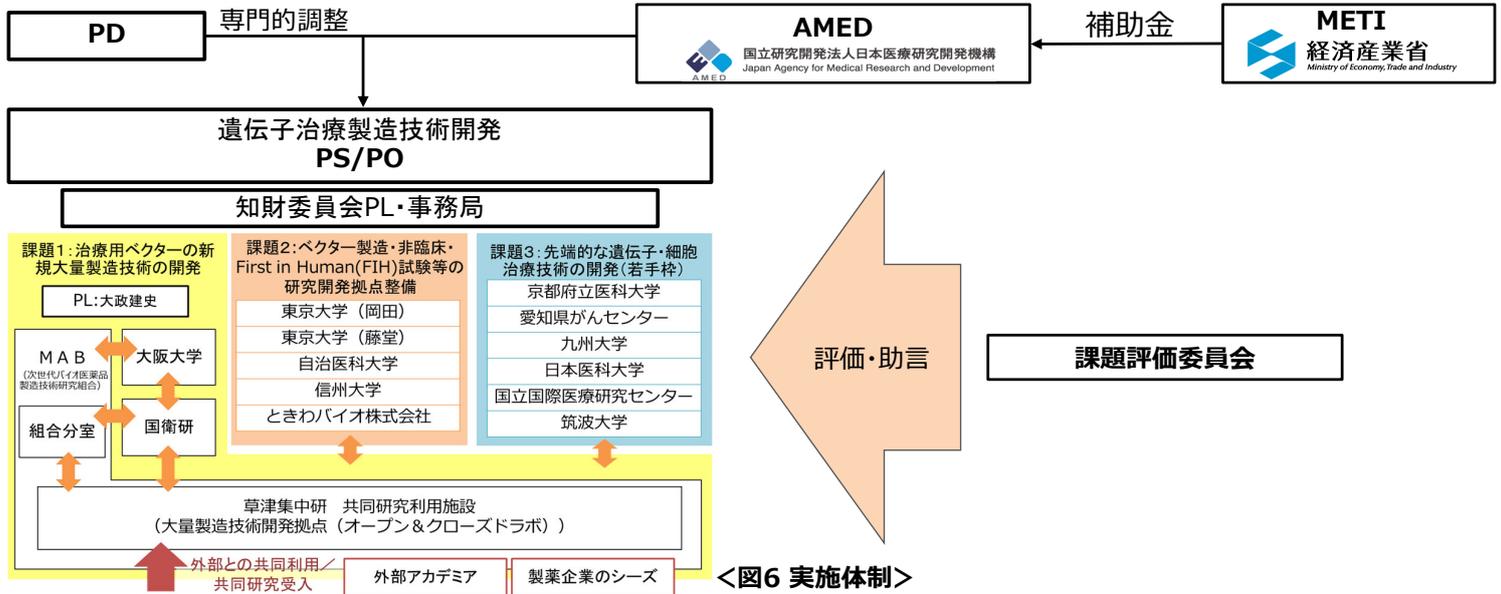
年度	論文数	発表	国内特許出願	国外特許出願	PCT出願
2018年度～ 2021年度	459件	290件	24件	1件	7件
2022年度	38件 (うち査読21件)	117件	5件	1件	2件
2023年度	61件 (うち査読45件)	133件	11件	0件	3件

※詳細はスライド35以降参照

※2024年11月集計時点

評価項目3. マネジメント

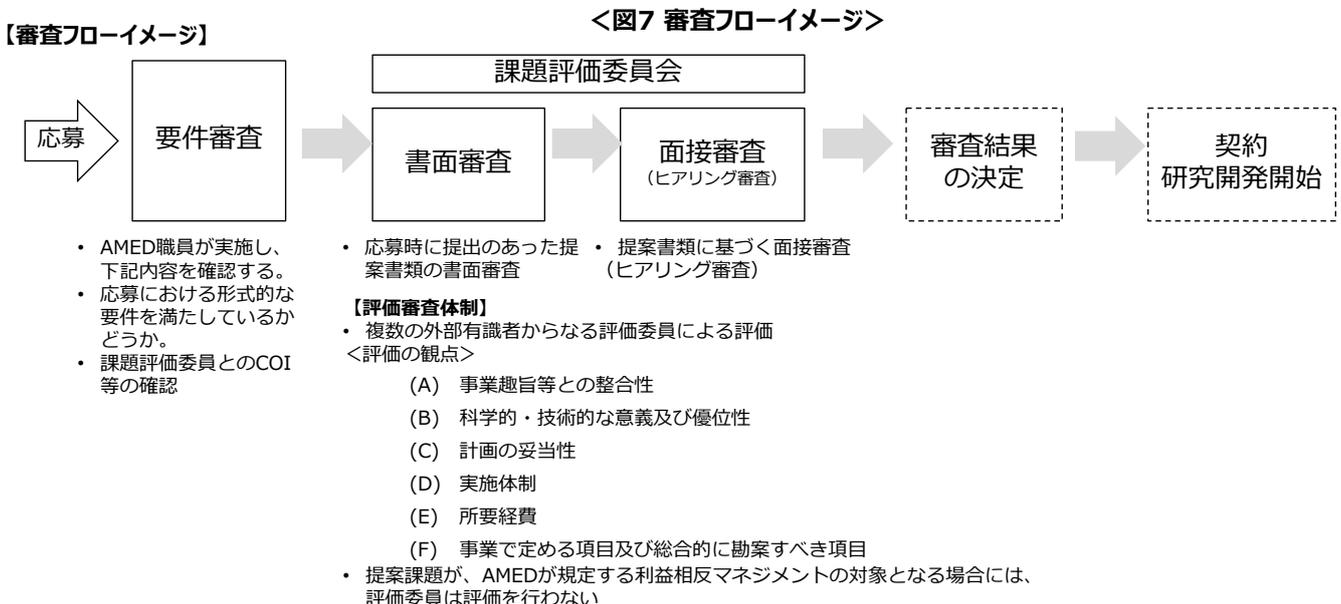
- 本事業は、健康・医療分野の研究開発支援を一元的に担うこととなっているAMEDにおいて執行する。
 - ①本分野が対象とする疾患領域は、他のモダリティと一部競争関係にあり、他のモダリティの技術開発動向を踏まえて技術価値や戦略が変わりうること、
 - ②遺伝子治療を含む健康・医療分野の研究開発は非常に専門的であり、当該分野のノウハウ・知見を持つ機関以外では適切な審査、事業管理、効果の最大化ができないこと、
 を踏まえ、AMEDが最適な執行機関である。
- 事業実施においては、研究分野に関して優れた学識経験や研究開発の実績等を有し、研究開発課題の評価及び業務運営に関して見識を有する専門家をプログラムディレクター（PD）、プログラムスーパーバイザー（PS）、プログラムオフィサー（PO）として配置。PD、PS、POは協力して、連携分野全体の課題を把握し、担当する連携分野の運営や分野間の協力の推進等の高度な専門的調整を行うことで、マネジメント体制を明確とした上で、実施者間での連携、成果のユーザーによる関与など、実用化・事業化を目指した実施体制や役割分担を実現する。
- なお、AMEDにおいては、これまでの研究開発支援での知見を踏まえ、研究者による適切な情報開示やその所属機関における管理体制整備といった研究の健全性・公平性（研究インテグリティ）の確保に係る取組が適切に行われている。



<図6 実施体制>

3-1-2. 個別事業の採択プロセス

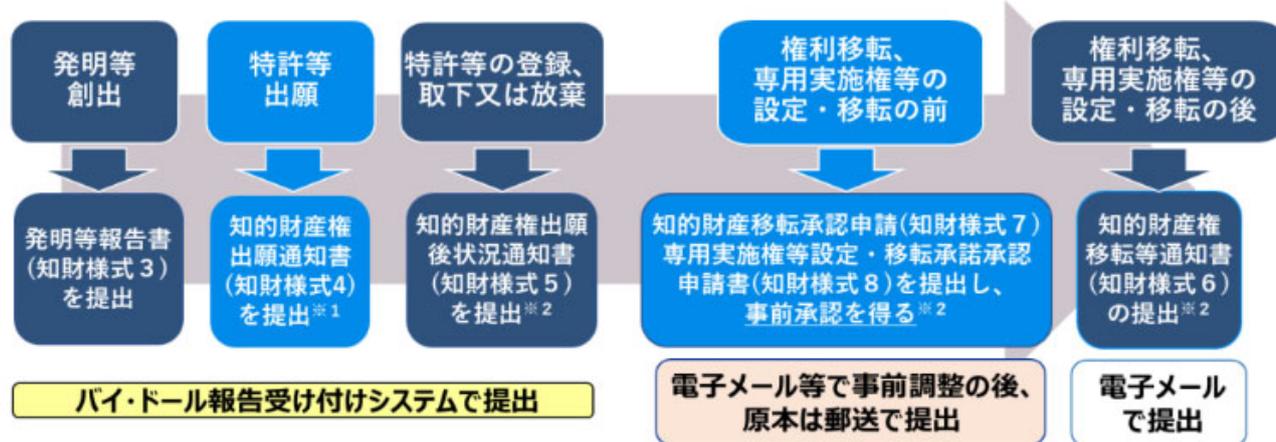
- ✓ 公募の周知方法
 - ⇒ AMEDのホームページやX（旧twitter）での公募上の掲載・周知、公募説明会の開催、各種メールマガジンにおける配信等により周知。
- ✓ 対象者
 - ⇒ 対象者はAMEDが規定する研究機関等。
- ✓ 採択審査体制及びそのフロー
 - ⇒ 下図のような体制及びフローで採択審査を実施。



<図7 審査フローイメージ>

- AMEDでは、有望な成果を知的財産権で確実に保護するため、委託先には、委託事業の成果として発明等が生み出された場合AMEDに速やかに報告することを委託契約で義務づけている。報告内容に基づき、AMEDの知財専門家が研究成果の知財化を必要に応じて支援している。
- また、委託事業の成果の最大化を図るために、研究成果の権利化、活用状況等についてもAMEDへ報告又は調査に協力することを義務としており、各事業での研究開発成果の状況は毎年適切に把握している。

<図9 研究データの管理・利活用 概略図>



※1 外国出願、PCT国際出願、PCT国際出願の各国移行も報告の対象です。
 ※2 権利化前の出願（発明等）の取下、放棄、移転も、報告・事前承認の対象です。

(出典) AMED委託事業における知的財産の取扱い
<https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/toriatsukai.html>

3-2-1. 研究開発計画と進捗状況 (MAB組合)

<表4 MAB組合 研究開発計画の予実と達成率>

研究開発項目	FY2018	FY2019	FY2020	FY2021	FY2022	FY2023	達成率
ホスト細胞開発 (分科会A) 細胞開発拠点整備	予定	実績					100%
ホスト細胞開発 (分科会A) ウイルスベクター製造用新規国産ホスト細胞開発	予定	実績					100%
ホスト細胞開発 (分科会A) プロデューサー細胞開発のための技術開発	予定	実績					100%
ウイルスベクター製造技術開発 (分科会B) 製造技術開発拠点整備	予定	実績					100%
ウイルスベクター製造技術開発 (分科会B) 製造要素技術開発	予定	実績					100%
ウイルスベクター製造技術開発 (分科会B) 製造プロセス開発	予定	実績					100%
ウイルスベクター製造技術開発 (分科会B) 統合実証	予定	実績					100%
遺伝子治療ウイルスベクターの分析技術開発 (分科会C) 分析技術開発拠点整備	予定	実績					100%
遺伝子治療ウイルスベクターの分析技術開発 (分科会C) 既存分析法整備	予定	実績					100%
遺伝子治療ウイルスベクターの分析技術開発 (分科会C) 既存分析実行	予定	実績					100%
遺伝子治療ウイルスベクターの分析技術開発 (分科会C) 先端分析法整備	予定	実績					100%
遺伝子治療ウイルスベクターの分析技術開発 (分科会C) 先端分析実行	予定	実績					100%
遺伝子治療ウイルスベクターの分析技術開発 (分科会C) 品質特性調査・分析	予定	実績					100%
遺伝子治療ウイルスベクターの分析技術開発 (分科会C) 分析参照品開発	予定	実績					100%
遺伝子治療ウイルスベクターの分析技術開発 (分科会C) 分析参照品共同測定	予定	実績					100%
知財戦略、知財調査 (分科会D) 知財調査、技術動向調査	予定	実績					100%
知財戦略、知財調査 (分科会D) 勉強会	予定	実績					100%
臨床応用推進 (日本版PaVe-GTプロジェクト)	予定	実績					100%

※達成率：本事業の目標を達成するために研究開発代表者が各自で設定した各項目の目標に対して、どの程度達成できたかを研究者自身で評価頂いた値。

<表5 東京大学（岡田先生）研究開発計画の予実と達成率>

研究開発項目		FY2018	FY2019	FY2020	FY2021	FY2022	FY2023	達成率
高産生細胞株樹立に向けた機能検証	予定							60%
	実績							
ウイルスベクター高産生培地および高純度精製技術の開発	予定							90%
	実績							
ベクター高感受性細胞の開発と安全性・有効性を向上させる技術の開発	予定							80%
	実績							
高度品質管理技術の開発	予定							90%
	実績							
非臨床試験計画の評価と臨床応用	予定							90%
	実績							
臨床試験準備と導出マネジメント	予定							100%
	実績							

<表6 東京大学（藤堂先生）研究開発計画の予実と達成率>

研究開発項目		FY2018	FY2019	FY2020	FY2021	FY2022	FY2023	達成率
がん治療用HSV-1の開発	予定							100%
	実績							
がん治療用コクサッキーウイルスの開発	予定							100%
	実績							
がん治療用ワクシニアウイルスの開発	予定							91%
	実績							

<表7 自治医科大学 研究開発計画の予実と達成率>

研究開発項目		FY2018	FY2019	FY2020	FY2021	FY2022	FY2023	達成率
AAVベクター遺伝子治療の基盤技術開発								
・肝細胞への遺伝子導入ベクター製造	予定							100%
	実績							
・中枢神経系への遺伝子導入技術開発	予定							100%
	実績							
AAV中和抗体に関する検討								
・中和抗体測定法の改良	予定							100%
	実績							
・個体レベルでの発現と力価	予定							100%
	実績							
・抗体価の定量的新単位の確立	予定							90%
	実績							
AAVベクター製造法の評価								
・糖鎖の網羅的解析	予定							100%
	実績							
・Sfラドウイルス除去	予定							100%
	実績							
造血幹細胞ゲノム編集基盤技術								
・造血幹細胞へのゲノム編集ツール送達	予定							100%
	実績							
・動物への造血幹細胞移植実験	予定							100%
	実績							
ゲノム編集技術(体内法)の安全性								
・安全性評価(マウス)	予定							100%
	実績							
・安全性評価(非ヒト霊長類)	予定							100%
	実績							
・オフターゲット/ゲノムインテグレーション	予定							100%
	実績							
CAR-T療法:細胞調製の最適化								
・臨床検体収集	予定							100%
	実績							
・in vitroにおけるCAR-T機能解析	予定							100%
	実績							
・in vivoにおけるCAR-T機能解析	予定							80%
	実績							
規制対応								
・CAR-T/TCR-Tシーズの臨床開発支援	予定							80%
	実績							
・AAV9ベクターを用いた治験の支援	予定							100%
	実績							

<表8 信州大学 研究開発計画の予実と達成率>

研究開発項目		FY2018	FY2019	FY2020	FY2021	FY2022	FY2023	達成率
霊長類CAR-T細胞製造法の確立	予定							80%
	実績							
霊長類モデル非臨床試験の確立	予定							90%
	実績							
オープンラボの整備	予定							100%
	実績							

<表9 ときわバイオ 研究開発計画の予実と達成率>

研究開発項目		FY2018	FY2019	FY2020	FY2021	FY2022	FY2023	達成率
安全性の高い遺伝子・細胞治療を実現するステルス型RNAベクター（SRV）技術の確立	予定							90%
	実績							
ステルス型RNAベクターを使った遺伝子治療技術の開発	予定							60%
	実績							
ステルス型RNAベクターを使った抗原特異的免疫寛容誘導法の開発	予定							60%
	実績							

所見：

いずれの課題も、ほぼ予実差なく研究開発が進捗し、概ね目標を達成した。目標に達しなかった項目は、その課題の別項目で著しい成果が見られたため、その成果に注力した結果である。なお、この研究方針の変更は月に1回開催されるPSPO会議にて了承を得て進められた。

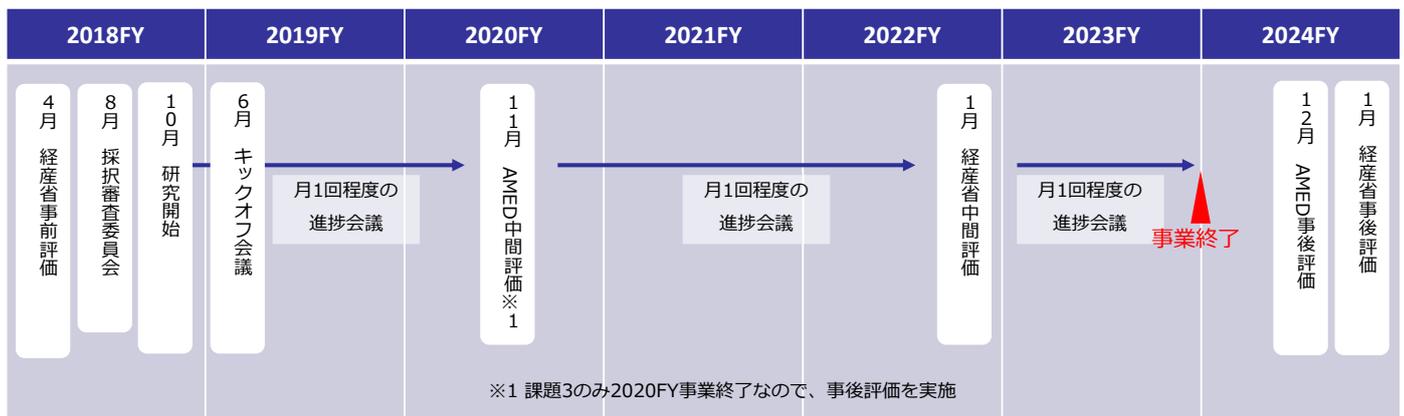
3-2-2. 進捗管理

評価項目3

<表10 進捗管理の体制>

	役割
AMED	<ul style="list-style-type: none"> ○契約管理、研究計画の確認、年度初めの予算配分案の作成を行う。予算増減の必要な項目があれば対応を検討し、経済産業省に提案する。 ○月1回程度の進捗会議（PSPO会議、PSPOは必須、必要に応じて個別課題担当者を招集）の主催と、各課題担当者との直接のやりとりを通じて、課題毎の進捗状況の管理を行う。 ○事業の成果について事業外に発信する場（成果報告会等）の企画・開催を行う。
PSPO（敬称略）	<ul style="list-style-type: none"> ○研究開発課題の評価及び業務運営に関して見識を有する専門家を配置。 ○連携分野全体の課題を把握し、担当する連携分野の運営や分野間の協力の推進等の高度な専門的調整を行う。 ○研究機関や企業とのネットワークを生かし、事業成果の導出先の創出に協力する。 ○PS：稲垣 治（元日本製薬工業協会 運営委員） ○PO：島田 隆（日本医科大学 名誉教授） ○PO：五十嵐 隆（国立成育医療センター 理事長）
課題1 PL（敬称略）	<ul style="list-style-type: none"> ○課題1の取りまとめ役として、研究開発項目毎の目的と達成度を確認し、目標達成に向けたヒアリングを行う。 ○PSPOからの依頼に応じて速やかにAMEDと連携して各課題へのアドバイスを実施する。 ○PL：大政 健史（次世代バイオ医薬品製造技術研究組合/大阪大学 教授）

<表11 進捗管理スケジュール>



- 事業開始後3年目（2020年度）の末に行うAMEDでの中間評価をステージゲートとし、KPI（アウトカム・アウトプット）の達成状況を確認する。ステージゲート時点で、①アウトプット（コア技術の導出状況）について一定の成果が出ており、②アウトカムについて達成目処が見えていれば、事業を継続とする。開発の進捗が著しい場合には、増額を検討する。①②いずれかについて明らかに条件を満たせていない場合には、事業の縮小／中止を検討する。

- 前頁記載のとおり、事業開始後3年目（2020年度）の末に行うAMEDでの中間評価をステージゲートとし、KPI（アウトカム・アウトプット）の達成状況を確認する中で、成果達成に向けた進捗が著しい場合などに事業開始後4～6年目の予算要求額を増やすことを想定している。
- そのため、参加者にとっては成果に応じて後半年度の事業規模を拡大できることとなり、これがインセンティブとして機能すると思量。
- また、事業外の関係者との意見交換の場や、事業成果に関する情報発信の場を積極的に設定することによって、本事業に関する関心や反応を募り、参加者のモチベーションの向上や事業方向性の適正化を図ることを想定している。

課題番号	内容
1 1	Infectivity Assessment of Recombinant Adeno-Associated Virus and Wild-Type Adeno-Associated Virus Exposed to Various Diluents and Environmental Conditions. Tomono T, Hirai Y, Chono H, Mineno J, Ishii A, Onodera M, Tamaoka A, and Okada T, Human Gene Therapy Methods, 30(4):137-143 (2019), doi: 10.1089/hgtb.2019.082Human Gene Therapy Methods.2019
1 2	Two-dimensional droplet digital PCR as a tool for titration and integrity evaluation of recombinant adeno-associated viral vectors, Furuta-Hanawa B, Yamaguchi T, Uchida E, 2019, Human Gene Therapy Methods, 30, 127-136, doi: 10.1089/hgtb.2019.031.Human Gene Therapy Methods2019
1 3	Characterization of Adeno-Associated Virus Capsid Proteins with Two Types of VP3-Related Components by Capillary Gel Electrophoresis and Mass Spectrometry. Oyama H, Ishi K, Maruno T, Torisu T, Uchiyama S, Human Gene Therapy. 2021, 32, 1403-1416, doi: 10.1089/hum.2021.009.Human Gene Therapy2021
1 4	Comprehensive Size Distribution and Composition Analysis of Adeno-Associated Virus Vector by Multiwavelength Sedimentation Velocity Analytical Ultracentrifugation, Maruno T, Usami K, Ishi K, Torisu T, Uchiyama S, J.Pharm.Sci.,2021, 110, 3375-3384, doi:10.1016/j.xphs. 2021.06.031Journal of Pharmaceutical Sciences2021
1 5	A PCR-amplified transgene fragment flanked by a single copy of a truncated ITR for rAAV production prevents unnecessary plasmid DNA packaging. Adachi K, Tomono T, Okada H, Shiozawa Y, Yamamoto M, Miyagawa Y, Okada T, Gene Therapy, 2021, doi: 10.1038/s41434-021-00299-x.Gene Therapy2021
1 6	Reduction of Recombinant Adeno-Associated Virus Vector Adsorption on Solid Surfaces by Polyionic Hydrophilic Complex Coating, Ramy S, Ueda Y, Nakajima H, Hiroi M, Hiroi Y, Torisu T, Uchiyama S, J.Pharm.Sci.,2022, 111, 663-671, doi: 10.1016/j.xphs. 2021.10.022Journal of Pharmaceutical Sciences2022
1 7	Size distribution analysis of the adeno-associated virus vector by c(s) analysis of band-forming analytical ultracentrifugation with multiwavelength detection. Maruno T, Ishii K, Torisu T, Uchiyama S, J Pharm Sci, 2022, 112, 4, 937-946, doi: 10.1016/j.xphs.2022.10.023. Journal of Pharmaceutical Sciences2022
1 8	Large-scale purification of functional AAV particles packaging the full genome using short-term ultracentrifugation with a zonal rotor. Wada M, Uchida N, Posadas-Herrera G, Hayashita-Kinoh H, Tsunekawa Y, Hirai Y, Okada T, Gene Therapy, 28 March 2023, doi.org/10.1038/s41434-023-00398-xGene Therapy2023
1 9	Higashiyama K, Yuan Y, Hashiba N, Masumi-Koizumi K, Yusa K, Uchida K. Quantitation of Residual Host Cell DNA in Recombinant Adeno-Associated Virus Using Droplet Digital Polymerase Chain Reaction, Hum Gene Therapy, 2023, DOI: 10.1089/hum.2023.006Human Gene Therapy2023
1 10	Investigating critical thermal parameters for pre-analytical preparation of adeno-associatedpre-analytical preparation of adeno-associated virus vector genome titration by droplet digital polymerase chain reaction, Saito S, Kondo A, Uchida K, Translat Regulat Sci, 2023. doi: 10.33611/trs.2023-001Translat Regulat Sci.2023
1 11	Enhancement of recombinant adeno-associated virus activity by improved stoichiometry and homogeneity of capsid protein assembly. Onishi T, Nonaka M, Maruno T, Yamaguchi Y, Fukuhara M, Torisu T, Maeda M, Abbatiello S, Haris A, Richardson K, Giles K, Preece S, Yamano-Adachi N, Omasa T, Uchiyama S, Mol. Ther. Meth. Clin. Dev., 2023, DOI: 10.1016/j.omtm.2023.101142.Mol. Ther. Meth. Clin. Dev.2023
1 12	Optimization of Flow Imaging Microscopy Setting Using Spherical Beads with Optical Properties Similar to Those of Biopharmaceuticals, Kurinomaru T, Takeda K, Onaka M, Kuruma Y, Takahata K, Takahashi K, Sakurai H, Sasaki A, Noda N, Honda S, Shibuya R, Ikeda T, Okada R, Torisu T, Uchiyama S, J Pharm Sci. 2023. DOI:https://doi.org/10.1016/j.xphs.2023.10.007Journal of Pharmaceutical Sciences2023
1 13	Combined 100 keV cryo-electron microscopy and image analysis methods to characterize the wider adeno-associated viral products. Nishiumi H, Hirohata K, Fukuhara M, Matsushita A, Racafort M.A.V, Tsunaka Y, Maruno T, Torisu T, Uchiyama S, J Pharm Sci. 2024, DOI: 10.1016/j.xphs.2024.03.026Journal of Pharmaceutical Sciences2024
1 14	Applications and Limitations of Equilibrium Density Gradient Analytical Ultracentrifugation for the Quantitative Characterization of Adeno-Associated Virus Vectors, Hirohata K, Yamaguchi Y, Maruno T, Shibuya R, Torisu T, Onishi T, Chono H, Mineno J, Yuzhe Y, Higashiyama K, Masumi-Koizumi K, Uchida K, Yamamoto T, Uchida E, Okada T, Uchiyama S, Anal Chem. 2024, 96, 642-651. DOI: 10.1021/acs.analchem.3c01955Anal Chem2024
1 15	Concise Analysis of Single-Stranded DNA of Recombinant Adeno-Associated Virus By Automated Electrophoresis System, Yuan Y, Higashiyama K, Hashiba N, Masumi-Koizumi K, Yusa K, Uchida K, Hum Gene Therapy. 2024, DOI: 10.1089/hum.2023.148 Human Gene Therapy2024

スライド 37

WO

特許一覧は、まだ申請段階の事例もありました。選別が困難なため、添付しないことにしました。(芝原)

Windows ユーザー, 2024-11-20T01:26:26.285

課題番号	内容
1 16	Glycosylation of recombinant adeno-associated virus serotype 6, Yuki Yamaguchi, Kentaro Ishii, Sachiko Koizumi, Hiroaki Sakaue, Takahiro Maruno, Mitsuko Fukuhara, Risa Shibuya, Yasuo Tsunaka, Aoba Matsushita, Karin Bandoh, Tetsuo Torisu, Chie Murata-Kishimoto, Azusa Tomioka, Saho Mizukado, Hiroyuki Kaji, Yuji Kashiwakura, Tsukasa Ohmori, Atsushi Kuno, Susumu Uchiyama, Mol. Ther. Meth. Clin Dev.,2024, DOI: 10.1016/j.omtm.2024.101256Mol. Ther. Meth. Clin Dev.2024
1 17	遺伝子治療の規制, 内田恵理子, 医学と薬学, 76(8), 1151-1157 (2019)医学と薬学2019
1 18	遺伝子治療の開発動向, 内田恵理子, PharmStage, 19 (5), 1-5 (2019)PharmStage2019
1 19	“別冊・医学のあゆみ 遺伝子治療の新局面”, 遺伝子治療関連規制の動向, 内田恵理子: 小野寺雅史編集, 医師薬出版, pp148-155 (2019)医学のあゆみ2019
1 20	「いま, 本格化する遺伝子治療 遺伝性疾患・がんと戦う新たな一手」第3章 AAVベクター-遺伝子治療 II, 静脈注射による方法 4, 脊髄性筋萎縮症や筋ジストロフィーに対する遺伝子治療, 喜納(早下)裕美, 岡田尚巳, 武田伸一, 実験医学増刊, 2020, 38, 2, 83-89, 実験医学増刊2020
1 21	「いま, 本格化する遺伝子治療 遺伝性疾患・がんと戦う新たな一手」第3章 AAVベクター-遺伝子治療, III, AAVベクター-遺伝子治療の課題と展望 5, AAVベクターの大量製造法と精製法, 岡田尚巳, 実験医学増刊, 2020, 38, 2, 90-95, 実験医学増刊2020
1 22	VI よくわかる遺伝子治療 -実用化の現状と展望- B, 遺伝子治療総論 2, 遺伝子治療の歴史, 岡田尚巳, Clinical Neuroscience, 2020, 38, 3, 293-298Clinical Neuroscience2020
1 23	日本における遺伝子治療の規制, 内田恵理子: 実験医学 38(2), 169-175 (2020) 実験医学2020
1 24	遺伝子治療の現状と課題 (世界と日本), 内田恵理子, 内藤幹彦, Clinical Neuroscience, 38(3), 299-303 (2020)Clinical Neuroscience2020
1 25	「いま, 本格化する遺伝子治療 遺伝性疾患・がんと戦う新たな一手」第3章 AAVベクター-遺伝子治療 II, 静脈注射による方法 4, 脊髄性筋萎縮症や筋ジストロフィーに対する遺伝子治療, 喜納(早下)裕美, 岡田尚巳, 武田伸一, 実験医学増刊, 2020, 38, 2, 83-89実験医学増刊2020
1 26	「いま, 本格化する遺伝子治療 遺伝性疾患・がんと戦う新たな一手」第3章 AAVベクター-遺伝子治療, III, AAVベクター-遺伝子治療の課題と展望 5, AAVベクターの大量製造法と精製法, 岡田尚巳, 実験医学増刊, 2020, 38, 2, 90-95実験医学増刊2020
1 27	VI よくわかる遺伝子治療 -実用化の現状と展望- B, 遺伝子治療総論 2, 遺伝子治療の歴史, 岡田尚巳, Clinical Neuroscience, 2020, 38, 3, 293-298Clinical Neuroscience2020
1 28	「遺伝子治療用ベクターの分析・品質管理技術」, 内山進, 鳥巢哲生, 石井健太郎, 渋谷理紗, 福原充子, 丸野孝浩, 遺伝子治療開発研究ハンドブック (2023) 遺伝子治療開発研究ハンドブック2023
1 29	「遺伝子治療用製品・遺伝子導入/改変細胞製品の品質・安全性に関する海外規制の最新動向, 遺伝子治療用製品の開発・申請戦略 <承認取得に向けた規制対応と品質及び安全性の確保>」, 山本武範, 山下拓真, 内田恵理子 井上貴雄, サイエンス&テクノロジー, 2023, 第2章, 39-62サイエンス&テクノロジー-2023
1 30	「遺伝子治療の臨床開発にかかる規制」, 内田恵理子, 山本武範, 井上貴雄, 医学のあゆみ, 2023, 285, 5, 488-494医学のあゆみ2023
2-1 1	Suji Lee, Ji Young Huh, David M. Turner, Soohyeon Lee, James Robinson, Jeremy E. Stein, Sung Han Shim, Chang Pro Hong, Myung Seo Kang, Masato Nakagawa, Shin Kaneko, Mahito Nakanishi, Mahendra S. Rao, Andreas Kurtz, Glyn N. Stacey, Steven G.E. Marsh, Mark L. Turner and Jihwan Song (2018). Repurposing the Cord Blood Bank for Haplobanking of HLA-Homozygous iPSCs and Their Usefulness to Multiple Populations. Stem Cells, 36, 1552-1566. doi: 10.1002/stem.2865.
2-1 2	Masaya Tsukamoto, Toshiya Nishimura, Kyohei Yodoe, Ryoji Kanegi, Yasunori Tsujimoto, Md Emtiaj Alam, Mizuki Kuramochi, Mitsuru Kuwamura, Manami Ohtaka, Ken Nishimura, Mahito Nakanishi, Toshio Inaba, Kikuya Sugiura. and Shingo Hatoya. (2018). Generation of Footprint-Free Canine Induced Pluripotent Stem Cells Using Auto-Erasable Sendai Virus Vector. Stem Cells and Development, 27, 1577-1586. doi: 10.1089/scd.2018.0084.
2-1 3	Ling Li, Jee Hoon Roh, Eun Hyuk Chang, Yoonkyung Lee, Suji Lee, Minchul Kim, Wonyoung Koh, Jong Wook Chang, Hee Jin Kim, Mahito Nakanishi, Roger A. Barker, Duk L. Na and Jihwan Song (2018). iPSC Modeling of Presenilin1 Mutation in Alzheimer's Disease with Cerebellar Ataxia. Experimental Neurobiology, 27, 350-364. doi: 10.5607/en.2018.27.5.350.

課題番号	内容
2-1 4	Atsutaka Minagawa, Toshiaki Yoshikawa, Masaki Yasukawa, Akitsu Hotta, Mihoko Kunitomo, Shoichi Iriguchi, Maiko Takiguchi, Yoshiaki Kassai, Eri Imai, Yutaka Yasui, Yohei Kawai, Rong Zhang, Yasushi Uemura, Hiroyuki Miyoshi, Mahito Nakanishi, Akira Watanabe, Akira Hayashi, Kei Kawana and Shin Kaneko. (2018). Enhancing T Cell Receptor Stability in Rejuvenated iPSC-Derived T Cells Improves Their Use in Cancer Immunotherapy. Cell Stem Cell, 23, 850-858. doi: 10.1016/j.stem.2018.10.005.
2-1 5	Hosaka S, Kobayashi C, Saito H, Imai-Saito A, Suzuki R, Iwabuchi A, Kato Y, Jimbo T, Watanabe N, Onodera M, Imadome K, Masumoto K, Nanmoku T, Fukushima T, Kosaki K, Sumazaki R, Takada H. Establishment of immunity against Epstein-Barr virus infection in a patient with CHARGE/complete DiGeorge syndrome after peripheral blood lymphocyte transfusion. Pediatr Transp, in press.
2-1 6	Tanita K, Hoshino A, Imadome KI, Kamiya T, Inoue K, Okano T, Yeh TW, Yanagimachi M, Shiraiishi A, Ishimura M, Schober T, Rohlf M, Takagi M, Imai K, Takada H, Ohga S, Klein C, Morio T, Kanegane H. Epstein-Barr Virus-Associated γδ T-Cell Lymphoproliferative Disorder Associated With Hypomorphic IL2RG Mutation. Front Pediatr. 2019 Feb 4;7:15. doi: 10.3389/fped.2019.00015. eCollection 2019.
2-1 7	Nakashima Y, Nanishi E, Yamamura K, Uike K, Terashi E, Hirata Y, Nagata H, Morihana E, Tanaka T, Honjo S, Takada H, Ohga S. Procalcitonin levels predicting the infliximab response of immunoglobulin resistant Kawasaki disease. Cytokine, 2019 Feb;114:26-31. doi: 10.1016/j.cyto.2018.11.025.
2-1 8	Iida Y, Wakiguchi H, Okazaki F, Nakamura T, Yasudo H, Kubo M, Sugahara K, Yamashita H, Suehiro Y, Okayama N, Hashimoto K, Iwamoto N, Kawakami A, Aoki Y, Takada H, Ohga S, Hasegawa S. Early canakinumab therapy for the sensorineural deafness in a family with Muckle-Wells syndrome due to a novel mutation of NLRP3 gene. Clin Rheumatol. 2019 Mar;38(3):943-948. doi: 10.1007/s10067-018-4331-8.
2-1 9	Takada H. Primary immunodeficiency and inherited bone marrow failure syndrome in adults. Rinsho Ketsueki. 2018;59(10):2204-2211. doi: 10.11406/rinketsu.59.2204.
2-1 10	Ono H, Ohta R, Kawasaki Y, Niwa A, Takada H, Nakahata T, Ohga S, Saito MK. Lysosomal membrane permeabilization causes secretion of IL-1β in human vascular smooth muscle cells. Inflamm Res. 2018 Oct;67(10):879-889. doi: 10.1007/s00011-018-1178-z.
2-1 11	Nakashima K, Koga Y, Sakai Y, Takada H, Harimaya K, Ohga S, Taguchi T, Oda Y, Honda H, Ohga S. Radiotherapy for Langerhans cell histiocytosis with paraplegia: A rare oncologic emergency case report in infancy and literature review. Brain Dev. 2018 Nov;40(10):952-955. doi: 10.1016/j.braindev.2018.05.016.
2-1 12	Okano T, Imai K, Tsujita Y, Mitsuiki N, Yoshida K, Kamae C, Honma K, Mitsui-Sekinaka K, Sekinaka Y, Kato T, Hanabusa K, Endo E, Takashima T, Hiroki H, Yeh TW, Tanaka K, Nagahori M, Tsuge I, Bando Y, Iwasaki F, Shikama Y, Inoue M, Kimoto T, Moriguchi N, Yuza Y, Kaneko T, Suzuki K, Matsubara T, Maruo Y, Kunitsu T, Waragai T, Sano H, Hashimoto Y, Tasaki K, Suzuki O, Shirakawa T, Kato M, Uchiyama T, Ishimura M, Tauchi T, Yagasaki H, Jou ST, Yu HH, Kanegane H, Kracker S, Durandy A, Kojima D, Muramatsu H, Wada T, Inoue Y, Takada H, Kojima S, Ogawa S, Ohara O, Nonoyama S, Morio T. Hematopoietic stem cell transplantation for progressive combined immunodeficiency and lymphoproliferation in patients with activated phosphatidylinositol-3-OH kinase δ syndrome type 1. J Allergy Clin Immunol. 2019 Jan;143(1):266-275. doi: 10.1016/j.jaci.2018.04.032.
2-1 13	Matsunaga Y, Ishimura M, Nagata H, Uike K, Kinjo T, Ochiai M, Yamamura K, Takada H, Tanoue Y, Hayakawa M, Matsumoto M, Hara T, Ohga S. Thrombotic microangiopathy in a very young infant with mitral valvuloplasty. Pediatr Neonatol. 2018 Dec;59(6):595-599. doi: 10.1016/j.pedneo.2018.02.002.
2-1 14	Disulfiram enhanced delivery of orally administered copper into the central nervous system in Menkes disease mouse model. Hoshina T, Nozaki S, Hamazaki T, Kudo S, Nakatani Y, Kodama H, Shintaku H, Watanabe Y Journal of Inherited Metabolic Disease 2018, 41, 1285-91. doi: 10.1007/s10545-018-0239-3.
2-1 15	Usefulness of serum bioppterin as a predictive biomarker for childhood asthma control: A prospective cohort study. Kasuga Saki, Kabata Daijiro, Sakaguchi Tomoko, Kudoh Satoshi, Nishigaki Satsuki, Higa Yusuke, Fujikawa Shiori, Fujitani Hiroko, Shintani Ayumi, Hamazaki Takashi, Shintaku Haruo. Allergy international. 2019, 68, 96-100. doi: 10.1016/j.ait.2018.08.012.
2-1 16	Calcinotto A, Brevi A, Chesi M, Ferraresi R, Garcia Perez L, Grioni M, Kumar S, Garbitt VM, Sharik ME, Henderson KJ, Tonon G, Tomura M, Miwa Y, Esplugues E, Flavell RA, Huber S, Canducci F, Rajkumar VS, Bergsagel PL, Bellone M. "Microbiota-driven interleukin-17-producing cells and eosinophils synergize to accelerate multiple myeloma progression" Nature Comm. 2018 dec 9(1):4832. doi: 10.1038/s41467-018-07305-8.
2-1 17	Hirokazu Yagi, Maho Yagi-Utsumi, Rena Honda, Yusaku Ohta, Taiki Saito, Miho Nishio, Satoshi Ninagawa, Kousuke Suzuki, Takahiro Anzai, Yukiko Kamiya, Kazuhiro Aoki, Mahito Nakanishi, Tadashi Satoh and Koichi Kato (2020). Nature Communications, 11(1), 1368. Improved Secretion of Glycoproteins Using an N-glycan-restricted Passport Sequence Tag Recognized by Cargo Receptor. doi: 10.1038/s41467-020-15192-1.
2-1 18	Atsuko Hamada, Eri Akagi, Sachiko Yamasaki, Hirotaka Nakatao, Fumitaka Obayashi, Manami Ohtaka, Ken Nishimura, Mahito Nakanishi, Shigeaki Toratani and Tetsuji Okamoto (2020). In Vitro Cellular & Developmental Biology-Animal, 56(1), 85 - 95. Induction of Integration-Free Human-Induced Pluripotent Stem Cells Under Serum- And Feeder-Free Conditions. doi: 10.1007/s11626-019-00412-w.
2-1 19	Seiji Nagano, Takuya Maeda, Hiroshi Ichise, Soki Kashima, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi, Toshio Kitawaki, Norimitsu Kadowaki, Akifumi Takaori-Kondo, Kyoko Masuda and Hiroshi Kawamoto (2019). Molecular Therapy Methods & Clinical Development, 16, 126 - 135. High Frequency Production of T Cell-Derived iPSC Clones Capable of Generating Potent Cytotoxic T Cells. doi: 10.1016/j.omtm.2019.12.006.

課題番号	内容
2-1 20	Masayuki Sano, Asako Nakasu, Manami Ohtaka and Mahito Nakanishi (2019). Molecular Therapy Methods & Clinical Development, 15, 371 - 382. A Sendai Virus-Based Cytoplasmic RNA Vector as a Novel Platform for Long-Term Expression of MicroRNAs. doi: 10.1016/j.omtm.2019.10.012.
2-1 21	Rina Yogo, Yuki Yamaguchi, Hiroki Watanabe, Hirokazu Yagi, Tadashi Satoh, Mahito Nakanishi, Masayoshi Onitsuka, Takeshi Omasa, Mari Shimada, Takahiro Maruno, Tetsuo Torisu, Shio Watanabe, Daisuke Higo, Takayuki Uchihashi, Saeko Yanaka, Susumu Uchiyama and Koichi Kato (2019). Scientific Reports, 9(1), 11957. The Fab Portion of Immunoglobulin G Contributes to Its Binding to Fcγ Receptor III. doi: 10.1038/s41598-019-48323-w.
2-1 22	Nobutoshi Nawa, Katsuya Hirata, Keiji Kawatani, Toshihiko Nambara, Sayaka Omori, Kimihiko Banno, Chikara Kokubu, Junji Takeda, Ken Nishimura, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi, Daisuke Senescence in human trisomy 21 fibroblasts. doi: 10.1371/journal.pone.0219592.
2-1 23	Takefumi Sone, Masashi Shin, Takehito Ouchi, Hiroki Sasanuma, Arei Miyamoto, Satoshi Ohte, Sho Tsukamoto, Mahito Nakanishi, Hideyuki Okano, Takenobu Katagiri and Kohnosuke Mitani (2019). Scientific Reports, 9(1), 9705. Dual Usage of a Stage-Specific Fluorescent Reporter System Based on a Helper-Dependent Adenoviral Vector to Visualize Osteogenic Differentiation. doi: 10.1038/s41598-019-46105-y.
2-1 24	Takashi Okumura, Yumi Horie, Chen-Yi Lai, Huan-Ting Lin, Hirofumi Shoda, Bunki Natsumoto; Keishi Fujio; Eri Kumaki; Tsubasa Okano; Shintaro Ono; Kay Tanita, Tomohiro Morio, Hirokazu Kanegane, Hisanori Hasegawa, Fumitaka Mizoguchi, Kimito Kawahata, Hitoshi Kohsaka, Hiroshi Moritake, Hiroyuki Nunoi, Hironori Waki, Shin-ichi Tamaru, Takayoshi Sasako, Toshimasa Yamauchi, Takashi Kadowaki, Hiroyuki Tanaka, Sachiko Kitanaka, Ken Nishimura, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi and Makoto Otsu (2019). Stem Cell Research & Therapy, 10(1), 185. Robust and Highly Efficient hiPSC Generation from Patient Non-Mobilized Peripheral Blood-Derived CD34+ Cells Using the Auto-Erasable Sendai Virus Vector. doi: 10.1186/s13287-019-1273-2.
2-1 25	Takuma Yamamoto, Makoto Otsu, Takashi Okumura, Yumi Horie, Yasuharu Ueno, Hideki Taniguchi, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi, Yuki Abe, Takehiko Murase, Takahiro Umehara and Kazuya Ikematsu (2019). Stem Cell Research, 39, 101485. Generation of Three Induced Pluripotent Stem Cell Lines from Postmortem Tissue Derived Following Sudden Death of a Young Patient with STXBP1 Mutation. doi: 10.1016/j.scr.2019.101485.
2-1 26	Ling Li, Jee Hoon Roh, Hee Jin Kim, Hyun Jung Park, Minchul Kim, Wonyoung Koh, Hyohoon Heo, Jong Wook Chang, Mahito Nakanishi, Taeyoung Yoon, Duk L Na and Jihwan Song (2019) Experimental Neurobiology, 28(3), 329-336. The First Generation of iPSC Line from a Korean Alzheimer's Disease Patient Carrying APP-V715M Mutation Exhibits a Distinct Mitochondrial Dysfunction. doi: 10.5607/en.2019.28.3.329.
2-1 27	Tomohiko Sakuda, Tadahiko Kubo, Muhammad Phertrus Johan, Taisuke Furuta, Takemasa Sakaguchi, Mahito Nakanishi, Mitsuo Ochi and Nobuo Adachi N (2019). Journal of Orthopaedic Research, 37(5), 1192-1201. Novel Near-Infrared Fluorescence-Guided Surgery with Vesicular Stomatitis Virus for Complete Surgical Resection of Osteosarcomas in Mice. doi: 10.1002/jor.24277.
2-1 28	Masamitsu Maekawa, Isamu Jinnoh, Yotaro Matsumoto, Aya Narita, Ryuichi Mashima, Hidenori Takahashi, Anna Iwahori, Daisuke Saigusa, Kumiko Fujii, Ai Abe, Katsumi Higaki, Shosei Yamauchi, Yuji Ozeki, Kazutaka Shimoda, Yoshihisa Tomioka, Torayuki Okuyama, Yoshikatsu Eto, Kousaku Ohno, Peter T Clayton, Hiroaki Yamaguchi and Nariyasu Mano (2019). International Journal of Molecular Sciences, 20(20), 5018. Structural Determination of Lysosphingomyelin-509 and Discovery of Novel Class Lipids from Patients with Niemann-Pick Disease Type C. doi: 10.3390/ijms20205018.
2-1 29	Masamitsu Maekawa, Isamu Jinnoh, Aya Narita, Takashi Iida, Daisuke Saigusa, Anna Iwahori, Hiroshi Nittono, Torayuki Okuyama, Yoshikatsu Eto, Kousaku Ohno, Peter T Clayton, Hiroaki Yamaguchi and Nariyasu Mano (2019). Journal of Lipid Research, 60(12), 2074 - 2081. Investigation of Diagnostic Performance of Five Urinary Cholesterol Metabolites for Niemann-Pick Disease Type C. doi: 10.1194/jlr.M093971.
2-1 30	Ryuichi Mashima, Torayuki Okuyama and Mari Ohira (2019). Future Science OA, 6(1), FSO434. Biosynthesis of long chain base in sphingolipids in animals, plants and fungi. doi: 10.2144/foa-2019-0094.
2-1 31	Yohei Takeshita, Tatsuyuki Ohto, Takashi Enokizono, Mai Tanaka, Hisato Suzuki, Hiroko Fukushima, Tomoko Uehara, Toshiki Takenouchi, Kenjiro Kosaki and Hidetoshi Takada (2020). Human Genome Variation, 7, 9. Novel ARX mutation identified in infantile spasm syndrome patient. doi: 10.1038/s41439-020-0094-2.
2-1 32	Takahiro Kido, Masao Iwagami, Hideo Yasunaga, Toshikazu Abe, Yuki Enomoto, Hiroki Matsui, Kiyohide Fushimi, Hidetoshi Takada and Nanako Tamiya (2020). Resuscitation, 148, 49-56. Outcomes of paediatric out-of-hospital cardiac arrest according to hospital characteristic defined by the annual number of paediatric patients with invasive mechanical ventilation: A nationwide study in Japan. doi: 10.1016/j.resuscitation.2019.12.020.
2-1 33	Saki Saeki, Takashi Enokizono, Kazuo Imagawa, Hiroko Fukushima, Daigo Kajikawa, Aiko Sakai, Mai Tanaka, Tatsuyuki Ohto, Hisato Suzuki, Tomoko Uehara, Toshiki Takenouchi, Kosaki Kenjiro and Hidetoshi Takada (2019). Clinical Case Reports, 7(11), 2059 - 2063. A case of autism spectrum disorder with cleft lip and palate carrying a mutation in exon 8 of AUTS2. doi: 10.1002/ccr3.2377.

課題番号	内容
2-1 34	Yasutaka Nakashima, Yasunari Sakai, Yumi Mizuno, Kenji Furuno, Keiichi Hirono, Shinichi Takatsuki, Hiroyuki Suzuki, Yoshihiro Onouchi, Tohru Kobayashi, Kazuhiro Tanabe, Kenji Hamase, Tomofumi Miyamoto, Ryohiei Aoyagi, Makoto Arita, Kenichiro Yamamura, Tamami Tanaka, Hisanori Nishio, Hidetoshi Takada, Shouichi Ohga and Toshiro Hara (2019). Cardiovascular Research, cvz305. Lipidomics links oxidized phosphatidylcholines and coronary arteritis in Kawasaki disease. doi: 10.1093/cvr/cvz305.
2-1 35	Masako Inaba, Tomohei Nakao, Sho Hosaka, Ryoko Suzuki, Hiroko Fukushima, Yuni Yamaki, Takashi Saito, Shingo Sakashita, Masayuki Noguchi, Manabu Minami, Tomohiko Masumoto, Masashi Mizumoto, Hideyuki Sakurai, Takashi Fukushima and Hidetoshi Takada (2020). Journal of Pediatric Hematology/Oncology, 42(1), e12 - e17. Urgent Proton Beam Therapy with Interinstitutional Transfer for Patients with Intracranial Rhabdomyosarcoma: Report of 3 Cases. doi: 10.1097/MPH.0000000000001620.
2-1 36	Sho Hosaka, Hiroko Fukushima, Tomohei Nakao, Ryoko Suzuki, Yuni Yamaki, Keiichi Tanaka, Takashi Saito, Masashi Mizumoto, Hideyuki Sakurai, Takashi Fukushima and Hidetoshi Takada (2020). Journal of Pediatric Hematology/Oncology, 42(1), e18 - e24. Patient Transfer to Receive Proton Beam Therapy During Intensive Multimodal Therapy is Safe and Feasible for Patients with Newly Diagnosed High-risk Neuroblastoma. doi: 10.1097/MPH.0000000000001570.
2-1 37	Momoko Sasazuki, Yasunari Sakai, Ryutarou Kira, Naoko Toda, Yuko Ichimiya, Satoshi Akamine, Michiko Torio, Yoshito Ishizaki, Masafumi Sanefuji, Miho Narama, Koichiro Itai, Toshiro Hara, Hidetoshi Takada, Yoshiyuki Kizawa and Shouichi Ohga (2019). BMJ Open, 9(8), e026579. Decision-making dilemmas of paediatricians: a qualitative study in Japan. doi: 10.1136/bmjopen-2018-026579.
2-1 38	Daisuke Hitaka, Naho Morisaki, Yayoi Miyazono, Aurelie Piedvache, Motomichi Nagafuji, Syusuke Takeuchi, Daigo Kajikawa, Yu Kanai, Makoto Saito and Hidetoshi Takada (2019). BMJ Paediatrics Open, 3(1), e000491. Neonatal outcomes of very low birthweight infants born to mothers with hyperglycaemia in pregnancy: a retrospective cohort study in Japan. doi: 10.1136/bmjpo-2019-000491.
2-1 39	Yuichi Ueno, Takashi Enokizono, Hiroko Fukushima, Tatsuyuki Ohto, Kazuo Imagawa, Mai Tanaka, Aiko Sakai, Hisato Suzuki, Tomoko Uehara, Toshiki Takenouchi, Kenjiro Kosaki and Hidetoshi Takada (2019). Human Genome Variation, 6, 25. A novel missense PTEN mutation identified in a patient with macrocephaly and developmental delay. doi: 10.1038/s41439-019-0056-8.
2-1 40	Wakako Kato, Miki Nishio, Yoko To, Hideru Togashi, Tak Wah Mak, Hidetoshi Takada, Shouichi Ohga, Tomohiko Maehama and Akira Suzuki (2019). Genes to Cells, 24(7), 485-495. MOB1 regulates thymocyte egress and T-cell survival in mice in a YAP1-independent manner. doi: 10.1111/gtc.12704.
2-1 41	Kumi Konishi, Yayoi Miyazono, Kosuke Doki, Takahiro Kido, Daisuke Hitaka, Yu Kanai, Hidetoshi Takada and Masato Homma (2019). Therapeutic Drug Monitoring, 41(3), 405-406. Plasma Concentration of Tamoxifen and Its Metabolites in a Neonate and Mother Receiving Tamoxifen: A Case Report of a Pregnant Woman. doi: 10.1097/FTD.0000000000000608.
2-1 42	Sho Hosaka, Chie Kobayashi, Hirota Saito, Ayako Imai-Saito, Ryoko Suzuki, Atsushi Iwabuchi, Yoshiaki Kato, Takahiro Jimbo, Nobuyuki Watanabe, Masafumi Onodera, Ken-Ichi Imadome, Kouji Masumoto, Toru Nanmoku, Takashi Fukushima, Kenjiro Kosaki, Ryo Sumazaki and Hidetoshi Takada (2019). Pediatric Transplantation, 23(4), e13424. Establishment of immunity against Epstein-Barr virus infection in a patient with CHARGE/complete DiGeorge syndrome after peripheral blood lymphocyte transfusion. doi: 10.1111/ptr.13424.
2-1 43	Aya Fukuda, Shiho Honda, Norie Fujioka, Yuya Sekiguchi, Seiya Mizuno, Yoshihiro Miwa, Fumihiko Sugiyama, Yohei Hayashi, Ken Nishimura and Koji Hisatake (2019). PLoS One, 14(11) e0225213. Non-invasive in vivo imaging of UCP1 expression in live mice via near-infrared fluorescent protein iRFP720. doi: 10.1371/journal.pone.0225213
2-1 44	Ling Li, Hee Jin Kim, Jee Hoon Roh, Minchul Kim, Wonyoung Koh, Younghoon Kim, Hyohoon Heo, Jaehoon Chung, Mahito Nakanishi, Taeyoung Yoon, Chang Pyo Hong, Sang Won Seo, Duk L Na and Jihwan Song (2020). Cell Proliferation, 53(4), e12798. Pathological Manifestation of the Induced Pluripotent Stem Cell-Derived Cortical Neurons from an Early-Onset Alzheimer's Disease Patient Carrying a presenilin-1 Mutation (S170F). doi: 10.1111/cpr.12798.
2-1 45	Masaya Tsukamoto, Kazuto Kimura, Miyuu Tanaka, Mitsuru Kuwamura, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi, Kikuya Sugiura and Shingo Hatoya (2020). Molecular Reproduction & Development, 87(6), 663-665. Generation of Footprint-Free Canine Induced Pluripotent Stem Cells from Peripheral Blood Mononuclear Cells Using Sendai Virus Vector. doi: 10.1002/mrd.23349.
2-1 46	Minchul Kim, Hee Jin Kim, Wonyoung Koh, Ling Li, Hyohoon Heo, Hanna Cho, Chul Hyoung Lyoo, Sang Won Seo, Eun-Joo Kim, Mahito Nakanishi, Duk L Na and Jihwan Song (2020). International Journal of Molecular Sciences, 21(15), E5319. Modeling of Frontotemporal Dementia Using iPSC Technology. doi: 10.3390/ijms21155319.
2-1 47	Tadahiro Honda, Miki Ando, Jun Ando, Midori Ishii, Yumi Sakiyama, Kazuo Ohara, Tokuko Toyota, Manami Ohtaka, Ayako Masuda, Yasuhisa Terao, Mahito Nakanishi, Hiromitsu Nakauchi and Norio Komatsu (2020). Molecular Therapy, 28(11), 2394-2405. Sustainable Tumor-Suppressive Effect of iPSC-Derived Rejuvenated T Cells Targeting Cervical Cancers. doi: 10.1016/j.ymthe.2020.07.004.

課題番号	内容
2-1 48	Katsuya Hirata, Toshihiko Nambara, Keiji Kawatani, Nobutoshi Nawa, Hidetaka Yoshimatsu, Haruna Kusakabe, Kimihiko Banno, Ken Nishimura, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi, Hidetoshi Taniguchi, Hitomi Arahori, Kazuko Wada, Keiichi Ozono and Yasuji Kitabatake (2020). Scientific Reports, 10(1), 14047. 4-phenylbutyrate ameliorates apoptotic neural cell death in Down syndrome through the reduction of protein aggregates. doi: 10.1038/s41598-020-70362-x.
2-1 49	Atsuko Hamada, Eri Akagi, Fumitaka Obayashi, Sachiko Yamasaki, Koichi Koizumi, Manami Ohtaka, Ken Nishimura, Mahito Nakanishi, Shigeaki Toratani and Tetsuji Okamoto (2020). In Vitro Cellular & Developmental Biology - Animal, 56(10):888-895. Induction of Noonan syndrome-specific human-induced pluripotent stem cells under serum-, feeder-, and integration-free conditions. doi: 10.1007/s11626-020-00515-9.
2-1 50	Takuya Maeda, Seiji Nagano, Soki Kashima, Koji Terada, Yasutoshi Agata, Hiroshi Ichise, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi, Fumihiko Fujiki, Haruo Sugiyama, Toshio Kitawaki, Norimitsu Kadowaki, Akifumi Takaori-Kondo, Kyoko Masuda and Hiroshi Kawamoto (2020). Molecular Therapy - Methods & Clinical Development, 19, 250-260. Regeneration of Tumor-Antigen-Specific Cytotoxic T Lymphocytes from iPSCs Transduced with Exogenous TCR Genes. doi: 10.1016/j.omtm.2020.09.011.
2-1 51	Yuni Yamaki, Takashi Fukushima, Naomi Yoshida, Ken Nishimura, Aya Fukuda, Koji Hisatake, Masayuki Aso, Tomoki Sakasai, Junko Kijima-Tanaka, Yoshihiro Miwa, Mahito Nakanishi, Ryo Sumazaki and Hidetoshi Takada (2021). International Journal of Hepatology, 113(4), 493-499. Utilization of a Novel Sendai Virus Vector for Ex Vivo Gene Therapy of Hemophilia A. doi: 10.1007/s12185-020-03059-6.
2-1 52	Kazuto Kimura, Masaya Tsukamoto, Miyuu Tanaka, Mitsuru Kuwamura, Manami Ohtaka, Ken Nishimura, Mahito Nakanishi, Kikuya Sugiura and Shingo Hatoya (2021). Stem Cells and Development, 30(2), 79-90. Efficient Reprogramming of Canine Peripheral Blood Mononuclear Cells into Induced Pluripotent Stem Cells. doi: 10.1089/scd.2020.0084.
2-1 53	Okuyama T, Eto Y, Sakai N, Nakamura K, Yamamoto T, Yamaoka M, Ikeda T, So S, Tanizawa K, Sonoda H, Sato Y. (2020). A Phase 2/3 Trial of Pabinafusp Alfa, IDS Fused with Anti-Human Transferrin Receptor Antibody, Targeting Neurodegeneration in MPS-II. Mol Ther., 29(2), 671-679. doi: 10.1016/j.yjth.2020.09.039.
2-1 54	Seo JH, Okuyama T, Shapiro E, Fukuhara Y, Kosuga M. (2020). Natural history of cognitive development in neuronopathic mucopolysaccharidosis type II (Hunter syndrome): Contribution of genotype to cognitive developmental course. Mol Genet Metab Rep., 24:100630. doi: 10.1016/j.yjmgmr.2020.100630.
2-1 55	Mashima R, Okuyama T, Ohira M. (2020). Biomarkers for Lysosomal Storage Disorders with an Emphasis on Mass Spectrometry. Int J Mol Sci., 21(8):2704. doi: 10.3390/ijms21082704.
2-1 56	Ohira M, Okuyama T, Mashima R. (2020). Long-Chain Base (LCB)-Targeted Lipidomics Study Uncovering the Presence of a Variety of LCBs in Mammalian Blood. Separations, 7(4), 57. https://doi.org/10.3390/separations7040057
2-1 57	Fukuhara Y, Miura A, Yamazaki N, So T, Kosuga M, Yanagi K, Kaname T, Yamagata T, Sakuraba H, Okuyama T. (2020). A cDNA analysis disclosed the discordance of genotype-phenotype correlation in a patient with attenuated MPS II and a 76-base deletion in the gene for iduronate-2-sulfatase. Mol Genet Metab Rep., 25:100692. doi: 10.1016/j.yjmgmr.2020.100692.
2-1 58	Nakamura K, Kawashima S, Tozawa H, Yamaoka M, Yamamoto T, Tanaka N, Yamamoto R, Okuyama T, Eto Y. (2020). Pharmacokinetics and pharmacodynamics of JR-051, a biosimilar of agalsidase beta, in healthy adults and patients with Fabry disease: Phase I and II/III clinical studies. Mol Genet Metab., 130(3):215-224. doi: 10.1016/j.yjmgme.2020.04.003.
2-1 59	Iwahori A, Maekawa M, Narita A, Kato A, Sato T, Ogura J, Sato Y, Kikuchi M, Noguchi A, Higaki K, Okuyama T, Takahashi T, Eto Y, Mano N. (2020). Development of a Diagnostic Screening Strategy for Niemann-Pick Diseases Based on Simultaneous Liquid Chromatography-Tandem Mass Spectrometry Analyses of N-Palmitoyl-O-phosphocholine-serine and Sphingosylphosphorylcholine. Biol Pharm Bull., 43(9):1398-1406. doi: 10.1248/bpb.b20-00400.
2-1 60	Seo JH, Kosuga M, Hamazaki T, Shintaku H, Okuyama T. (2021). Impact of intracerebroventricular enzyme replacement therapy in patients with neuronopathic mucopolysaccharidosis type II. Mol Ther Methods Clin Dev., 21:67-75. doi: 10.1016/j.omtm.2021.02.018.
2-1 61	Ishikawa M, Tada Y, Tanaka H, Morii W, Inaba M, Takada H, Mori T, Noguchi E. (2020). A family with Gitelman syndrome with asymptomatic phenotypes while carrying reported SLC12A3 mutations. Case Rep Nephrol Dial., 10(2):71-78. doi: 10.1159/000507845.

課題番号	内容
2-1 62	Nishimura S, Kobayashi Y, Ohnishi H, Moriya K, Tsumura M, Sakata S, Mizoguchi Y, Takada H, Kato Z, Sancho-Shimizu V, Picard C, Irani SR, Ohara O, Casanova JL, Puel A, Ishikawa N, Okada S, Kobayashi Masao. (2021). IRAK4 deficiency presenting with anti-NMDAR encephalitis and HHV6 reactivation. J Clin Immunol., 41(1):125-135. doi: 10.1007/s10875-020-00885-5.
2-1 63	Nihira H, Izawa K, Ito M, Umehayashi H, Okano T, Kajikawa S, Nanishi E, Keino D, Murakami K, Isa-Nishitani M, Shiba T, Honda Y, Hijikata A, Yasu T, Kubota T, Hasegawa Y, Kawashima Y, Nakano N, Takada H, Ohga S, Heike T, Takita J, Ohara O, Takei S, Takahashi M, Kanegane H, Morio T, Iwaki-Egawa S, Sasahara Y, Nishikomori R, Yasumi T. (2021). Detailed analysis of Japanese patients with adenosine deaminase 2 deficiency reveals characteristic elevation of type II interferon signature and STAT1 hyperactivation. J Allergy Clin Immunol. S0091-6749(21)00157-3. doi: 10.1016/j.jaci.2021.01.018
2-1 64	Morita A, Enokizono T, Ohto T, Tanaka M, Watanabe S, Takada Y, Iwama K, Mizuguchi T, Matsumoto N, Morita M, Takashima S, Shimozawa N, Takada H. (2021). Novel ACOX1 mutations in two siblings with peroxisomal acyl-CoA oxidase deficiency. Brain Dev., 43(3):475-481. doi: 10.1016/j.braindev.2020.10.011
2-1 65	Matsumoto T, Fukushima H, Fujiyama S, Nagatomo K, Hosaka S, Suzuki R, Yamaki Y, Kanai Y, Shibata H, Yasumi T, Isshiki K, Kato M, Miyazono Y, Takada H. (2021). A case of fetal-onset type 3 familial hemophagocytic lymphohistiocytosis surviving without severe complications after early diagnosis and treatment. Pediatr Blood Cancer, e29016. doi: 10.1002/pbc.29016.
2-1 66	Emi Tanaka, Yuko Ogawa, Ritsuko Fujii, Tomomi Shimonaka, Yoshiaki Sato, Takashi Hamazaki, Tokiko Nagamura-Inoue, Haruo Shintaku and Masahiro Tsuji (2020). Metabolomic analysis and mass spectrometry imaging after neonatal stroke and cell therapies in mouse brains. Sci. Rep., 10(1):21881. doi: 10.1038/s41598-020-78930-x.
2-1 67	Ulla Feldt-Rasmussen, Derralynn Hughes, Gere Sunder-Plassmann, Suma Shankar, Khan Nedd, Iacopo Olivotto, Damara Ortiz, Toya Ohashi, Takashi Hamazaki, Nina Skuban, Julie Yu, Jay A Barth and Kathleen Nicholls (2020). Long-term efficacy and safety of migalastat treatment in Fabry disease: 30-month results from the open-label extension of the randomized, phase 3 ATTRACT study. Mol Genet Metab., 131(1-2):219-228. doi: 10.1016/j.yjmgme.2020.07.007.
2-1 68	Yoshiharu Isoura, Yuki Cho, Hiroki Fujimoto, Takashi Hamazaki and Daisuke Tokuhara (2020). Effects of obesity reduction on transient elastography-based parameters in pediatric non-alcoholic fatty liver disease. Obes Res Clin Pract., 14(5):473-478. doi: 10.1016/j.orcp.2020.08.005.
2-1 69	Odagiri S, Kabata D, Tomita S, Kudo S, Sakaguchi T, Nakano N, Yamamoto K, Shintaku H and Hamazaki T. (2021). Clinical and Genetic Characteristics of Patients with Mild Hyperphenylalaninemia Identified by Newborn Screening Program in Japan. International Journal of Neonatal Screening, 7(1):17. doi: 10.3390/ijns7010017.
2-1 70	Sakiko Harada, Miki Ando, Jun Ando, Midori Ishii, Tomoyuki Yamaguchi, Satoshi Yamazaki, Tokuko Toyota, Kazuo Ohara, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi, Chansu Shin, Chihaya Imai, Yoza Nakazawa, Hiromitsu Nakauchi and Norio Komatsu (2022). Dual-antigen targeted iPSC-derived chimeric antigen receptor-T cell therapy for refractory lymphomas. Molecular Therapy, 30(2), 534-549. doi: 10.1016/j.yjth.2021.10.006.
2-1 71	Zhi Zhou, Sho Yoshimatsu, Emi Qian, Mitsuru Ishikawa, Tsukika Sato, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi and Hideyuki Okano (2021). Generation of a control human induced pluripotent stem cell line using the defective and persistent Sendai virus vector system. Stem Cell Research, 56, 102549. doi: 10.1016/j.scr.2021.102549.
2-1 72	Mari Ohira, Emika Kikuchi, Shiori Mizuta, Naomi Yoshida, Masafumi Onodera, Mahito Nakanishi, Torayuki Okuyama and Ryuichi Mashima (2021). Production of therapeutic iduronate-2-sulfatase enzyme with a novel single-stranded RNA virus vector. Genes to Cells, 26(11), 891-904. doi: 10.1111/gtc.12894.
2-1 73	Midori Ishii, Jun Ando, Satoshi Yamazaki, Tokuko Toyota, Kazuo Ohara, Yoshiki Furukawa, Yoshiyuki Suehara, Mahito Nakanishi, Kazutaka Nakashima, Koichi Ohshima, Hiromitsu Nakauchi and Miki Ando (2021). iPSC-Derived Neoantigen-Specific CTL Therapy for Ewing Sarcoma. Cancer Immunology Research, 9(10), 1175-1186. doi: 10.1158/2326-6066.CIR-21-0193.
2-1 74	Hisaya Kato, Yoshiro Maezawa, Yasuo Ouchi, Naoya Takayama, Masamitsu Sone, Kanako Sone, Aki Takada-Watanabe, Kyoko Tsujimura, Masaya Koshizaka, Sayaka Nagasawa, Hisako Saitoh, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi, Hidetoshi Tahara, Akira Shimamoto, Atsushi Iwama, Koji Eto and Koutaro Yokote (2021). Generation of disease-specific and CRISPR/Cas9-mediated gene-corrected iPSC cells from a patient with adult progeria Werner syndrome. Stem Cell Research, 53, 102360. doi: 10.1016/j.scr.2021.102360.
2-1 75	Kazuto Kimura, Masaya Tsukamoto, Takumi Yoshida, Miyuu Tanaka, Mitsuru Kuwamura, Manami Ohtaka, Ken Nishimura, Mahito Nakanishi, Kikuya Sugiura and Shingo Hatoya (2021). Canine induced pluripotent stem cell maintenance under feeder-free and chemically-defined conditions. Molecular Reproduction & Development, 88(6), 395-404. doi: 10.1002/mrd.23478.

課題	番号	内容
2-1	76	Yuni Yamaki, Takashi Fukushima, Naomi Yoshida, Ken Nishimura, Aya Fukuda, Koji Hisatake, Masayuki Aso, Tomoki Sakasai, Junko Kijima-Tanaka, Yoshihiro Miwa, Mahito Nakanishi, Ryo Sumazaki and Hidetoshi Takada (2021). International Journal of Hematology, 113(4), 493-499. Utilization of a Novel Sendai Virus Vector for Ex Vivo Gene Therapy of Hemophilia A. doi: 10.1007/s12185-020-03059-6.
2-1	77	Morita A, Hosaka S, Imagawa K, Ishiodori T, Nozaki Y, Murakami T, Takada H. (2022). Time course of peripheral immunophenotypes of multisystem inflammatory syndrome in children. Clin Immunol. Mar;236:108955. doi: 10.1016/j.clim.2022.108955.
2-1	78	Takada H. (2021). Creating Awareness for Primary Immunodeficiencies in Japan. Front Immunol. 12:803459. doi: 10.3389/fimmu.2021.803459.
2-1	79	Fukushima H, Suzuki R, Yamaki Y, Hosaka S, Inaba M, Muroi A, Tsurubuchi T, Morii W, Noguchi E, Takada H. (2022). Cancer-Predisposition Genetic Analysis in Children with Brain Tumors Treated at a Single Institution in Japan. Oncology. 100(3):163-172. doi: 10.1159/000521621.
2-1	80	Hosaka S, Kido T, Imagawa K, Fukushima H, Morio T, Nonoyama S, Takada H. (2022). Vaccination for Patients with Inborn Errors of Immunity: a Nationwide Survey in Japan. J Clin Immunol. 42(1):183-194. doi: 10.1007/s10875-021-01160-x.
2-1	81	Imagawa K, Morita A, Fukushima H, Tagawa M, Takada H. (2022). A novel BMP1A mutation affects mRNA splicing in juvenile polyposis syndrome. Pediatr Int. 64(1):e15041. doi: 10.1111/ped.15041.
2-1	82	Nagatomo K, Fukushima H, Kanai Y, Muramatsu H, Takada H. (2021). A neonate diagnosed with Noonan syndrome with myeloproliferative change. Pediatr Int. 63(12):1521-1523. doi: 10.1111/ped.14634.
2-1	83	Fukushima H, Suzuki R, Yamaki Y, Hosaka S, Inaba M, Morii W, Noguchi E, Takada H. (2022). Cancer predisposition genes in Japanese children with rhabdomyosarcoma. J Hum Genet. 67(1):35-41. doi: 10.1038/s10038-021-00961-7.
2-1	84	Matsumoto T, Fukushima H, Fujiyama S, Nagatomo K, Hosaka S, Suzuki R, Yamaki Y, Kanai Y, Shibata H, Yasumi T, Isshiki K, Kato M, Miyazono Y, Takada H. (2021). A case of fetal-onset type 3 familial hemophagocytic lymphohistiocytosis surviving without severe complications after early diagnosis and treatment. Pediatr Blood Cancer. 68(7):e29016. doi: 10.1002/pbc.29016.
2-1	85	Nihira H, Izawa K, Ito M, Umebayashi H, Okano T, Kajikawa S, Nanishi E, Keino D, Murakami K, Isa-Nishitani M, Shiba T, Honda Y, Hijikata A, Yasu T, Kubota T, Hasegawa Y, Kawashima Y, Nakano N, Takada H, Ohga S, Heike T, Takita J, Ohara O, Takei S, Takahashi M, Kanegane H, Morio T, Iwaki-Egawa S, Sasahara Y, Nishikomori R, Yasumi T. (2021). Detailed analysis of Japanese patients with adenosine deaminase 2 deficiency reveals characteristic elevation of type II interferon signature and STAT1 hyperactivation. J Allergy Clin Immunol. 148(2):550-562. doi: 10.1016/j.jaci.2021.01.018.
2-1	86	Hatano M, Fukushima H, Ohto T, Ueno Y, Saeki S, Enokizono T, Tanaka R, Tanaka M, Imagawa K, Kanai Y, Kato M, Shiraku H, Suzuki H, Uehara T, Takenouchi T, Kosaki K, Takada H. (2021). Variants in KIF2A cause broad clinical presentation; the computational structural analysis of a novel variant in a patient with a cortical dysplasia, complex, with other brain malformations 3. Am J Med Genet A. 185(4):1113-1119. doi: 10.1002/ajmg.a.62084.
2-1	87	Uehara T, Morino S, Oishi K, Nakamura Y, Togashi N, Imaizumi M, Nishimura S, Okada S, Yara A, Fukushima H, Imagawa K, Takada H. (2021). Pneumococcal serotype-specific opsonophagocytic activity in interleukin-1 receptor-associated kinase 4-deficient patients. Pediatr Infect Dis J. 40(5):460-463. doi: 10.1097/INF.0000000000003060.
2-1	88	Odagiri S, Kabata D, Tomita S, Kudo S, Sakaguchi T, Nakano N, Yamamoto K, Shintaku H, Hamazaki T. (2021). Clinical and Genetic Characteristics of Patients with Mild Hyperphenylalaninemia Identified by Newborn Screening Program in Japan. International Journal of Neonatal Screening. 7(1):17. doi: 10.3390/ijns7010017.
2-1	89	Kulathunga K, Wakimoto A, Hiraishi Y, Yadav MK, Gentleman K, Warabi E, Sakasai T, Miwa Y, Mizuno S, Takahashi S, Hamada M. (2021). Albino mice with the point mutation at the tyrosinase locus show high cholesterol diet-induced NASH susceptibility. Sci Rep. 11(1):21827. doi: 10.1038/s41598-021-00501-5. PMID: 34750345

課題	番号	内容
2-1	90	Hideto Aoki, Eiichi Suzuki, Takashi Nakamura, Shoko Onodera, Akiko Saito, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi, Ken Nishimura, Atsushi Saito and Toshifumi Azuma (2022). Induced pluripotent stem cells from homozygous Runx2-deficient mice show poor response to vitamin D during osteoblastic differentiation. Medical Molecular Morphology, 55(3), 174-186. doi: 10.1007/s00795-022-00317-w. Online ahead of print.
2-1	91	Le Phuong Hoang Anh, Ken Nishimura, Akihiro Kuno, Nguyen Thuy Linh, Tetsuo Kato, Manami Ohtaka, Mahito Nakanishi, Eiji Sugihara, Taka-Aki Sato, Yohei Hayashi, Aya Fukuda and Koji Hisatake (2022). Downregulation of Odd-Skipped Related 2, a Novel Regulator of Epithelial-Mesenchymal Transition, Enables Efficient Somatic Cell Reprogramming. Stem Cells, 40(4):397-410. doi: 10.1093/stmcls/sxax012.
2-1	92	Yuta Fujii, Yuji Arai, Shuji Nakagawa, Tsutomu Yamasaki, Minoru Iijima, Naofumi Yamada, Kenji Takahashi, Mahito Nakanishi and Tohru Nakanishi (2022). CD81 inhibition with the cytoplasmic RNA vector producing anti-CD81 antibodies suppresses arthritis in a rat CIA model. Biochemical and Biophysical Research Communication, 604, 22-29. doi: 10.1016/j.bbrc.2022.02.081.
2-1	93	Ryuichi Mashima and Mahito Nakanishi (2022). Mammalian Sulfatases: Biochemistry, Disease Manifestation, and Therapy. International Journal of Molecular Science, 23(15), 8153. doi.org/10.3390/ijms23158153
2-1	94	Yukihiro Matsukawa, Kyohei Isshiki, Tomoo Osumi, Satoshi Fujiyama, Hiroko Fukushima, Toru Uchiyama, Masaki Yamada, Takao Deguchi, Ken-Ichi Imadome, Kimikazu Matsumot, Daisuke Tomizawa, Hidetoshi Takada, Masafumi Ohtake, Motohiro Kato. (2022) Successful hematopoietic stem cell transplantation with reduced dose of busulfan for Omenn syndrome. Blood Cell Ther., 5(3):75-78. doi: 10.31547/bct-2021-021.
2-1	95	Motoi Yamashita, Shiori Eguchi, Dan Tomomasa, Takahiro Kamiya, Daiki Niizato, Noriko Mitsuiki, Takeshi Isoda, Hanako Funakoshi, Yuki Mizuno, Kentaro Okamoto, Tuan Minh Nguyen, Hidetoshi Takada, Masatoshi Takagi, Kohsuke Imai, Tomohiro Morio, Hirokazu Kanegane. (2022) HLA-haploidentical hematopoietic cell transplant with posttransplant cyclophosphamide in a patient with leukocyte adhesion deficiency type I. Front Immunol., 13(13):1020362. doi: 10.3389/fimmu.2022.1020362.
2-1	96	Christina Torres Kozycki, Shilpa Kodati, Laryssa Huryn, Hongying Wang, Blake M Warner, Priyam Jani, Dima Hammoud, Mones S Abu-Asab, Yingyos Jittayasothorn, Mary J Mattapallil, Wanxia Li Tsai, Ehsan Ullah, Ping Zhou, Xiaoying Tian, Ariane Soldatos, Niki Moutsopoulos, Marie Kao-Hsieh, Theo Heller, Edward W Cowen, Chyi-Chia Richard Lee, Camilo Toro, Shelley Kalsi, Zohreh Khavandgar, Alan Baer, Margaret Beach, Debra Long Priel, Michele Nehrebecky, Sofia Rosenzweig, Tina Romeo, Natalie Deutch, Laurie Brencley, Eileen Pelayo, Wadih Zein, Nida Sen, Alexander H Yang, Gary Farley, David A Sweetser, Lauren Briere, Janine Yang, Fabiano de Oliveira Poswar, Ida Vanessa D Schwartz, Tamires Silva Alves, Perrine Dusser, Isabelle Koné-Paut, Isabelle Toutout, Salah Mohamed Titah, Petrus Martin van Hagen, Rogier T A van Wijck, Peter J van der Spek, Hiromi Yano, Andreas Benneche, Ellen M Apalset, Ragnhild Wivestad Jansson, Rachel R Caspi, Douglas Byron Kuhns, Massimo Gadina, Hidetoshi Takada, Hiroaki Ida, Ryuta Nishikomori, Elena Verrecchia, Eugenio Sangiorgi, Raffaele Manna, Brian P Brooks, Lucia Sobrin, Robert B Hufnagel, David Beck, Feng Shao, Amanda K Ombrello, Ivona Aleksentjevich, Daniel L Kastner; Undiagnosed Diseases Network (2022) Gain-of-function mutations in ALPK1 cause an NF-κB-mediated autoinflammatory disease: functional assessment, clinical phenotyping and disease course of patients with ROSAH syndrome. Ann Rheum Dis., 81(10):1453-1464. doi: 10.1136/annrheumdis-2022-222629.
2-1	97	Morio Hasegawa, Hiroko Fukushima, Ryoko Suzuki, Yuni Yamaki, Sho Hosaka, Masako Inaba, Tomohei Nakao, Chie Kobayashi, Ai Yoshimi, Masahiro Tsuchida, Kazutoshi Koike, Takashi Fukushima, Hidetoshi Takada. (2022) Effect of Germline MEFV Polymorphisms on the Prognosis of Japanese Children with Cancer: A Regional Analysis. Oncology, 100(7):376-383. doi: 10.1159/000524833.
2-1	98	Satoko Ishii, Taishi Kakizuka, Sung-Joon Park, Ayako Tagawa, Chiaki Sanbo, Hideyuki Tanabe, Yasuyuki Ohkawa, Mahito Nakanishi, Kenta Nakai and Yusuke Miyanari (2024). Genome-wide ATAC-seq screening identifies TFDP1 as a modulator of global chromatin accessibility. Nature Genetics, 56(3), 473-482. doi: 10.1038/s41588-024-01658-1.
2-1	99	Takumi Kishimoto, Ken Nishimura, Kana Morishita, Aya Fukuda, Yusaku Miyamae, Yutaro Kumagai, Kimio Sumaru, Mahito Nakanishi, Koji Hisatake and Masayuki Aso (2022). An engineered ligand-responsive Csy4 endonuclease controls transgene expression from Sendai virus vectors. Journal of Biological Engineering, 18(1), 9. doi: 10.1186/s13036-024-00404-9.
2-1	100	Masaya Tsukamoto, Kazuto Kimura, Takumi Yoshida, Miyuu Tanaka, Mitsuru Kuwamura, Taro Ayabe, Genki Ishihara, Kei Watanabe, Mika Okada, Minoru Iijima, Mahito Nakanishi, Hidenori Akutsu, Kikuya Sugiura and Shingo Hatoya (2024). Generation of canine induced pluripotent stem cells under feeder-free conditions using Sendai virus vector encoding six canine reprogramming factors. Stem Cell Reports, 19(1), 141-157. doi: 10.1016/j.stemcr.2023.11.010.
2-1	101	Yoshiki Furukawa, Midori Ishii, Jun Ando, Kazuya Ikeda, Kyomi J Igarashi, Shintaro Kinoshita, Yoko Azusawa, Tokuko Toyota, Tadahiro Honda, Mahito Nakanishi, Koichi Ohshima, Ayako Masuda, Emiko Yoshida, Mari Kitade, Matthew Porteus, Yasuhisa Terao, Hiromitsu Nakauchi and Miki Ando (2023). iPSC-derived hypoinnate tissue resident memory T cells mediate robust anti-tumor activity against cervical cancer. Cell Reports Medicine, 4(12), 101327. doi: 10.1016/j.xcrm.2023.101327.
2-1	103	Narutoshi Yamazaki, Mari Ohira, Shuji Takada, Akira Ohtake, Masafumi Onodera, Mahito Nakanishi, Torayuki Okuyama and Ryuichi Mashima (2023). Enhanced osteoblastic differentiation of parietal bone in a novel murine model of mucopolysaccharidosis type II. Molecular Genetics and Metabolism Reports, 37, 101021. doi: 10.1016/j.jymgmr.2023.101021. 2023 Nov
2-1	104	Megumi Nishino, Mai Tanaka, Kazuo Imagawa, Katsuyuki Yaita, Takashi Enokizono, Tatsuyuki Ohto, Hisato Suzuki, Mamiko Yamada, Toshiki Takenouchi, Kenjiro Kosaki and Hidetoshi Takada (2024). Identification of a novel splice-site WWOX variant with paternal uniparental isodisomy in a patient with infantile epileptic encephalopathy. Am J Med Genet A. 2024 Feb 26., in press DOI: 10.1002/ajmg.a.63575
2-1	105	Motomichi Nagafuji, Satoshi Fujiyama, Ryota Ishii, Michiru Shime, Toshinori Kitatsu, Yusuke Hoshino, Yu Kanai, Junichi Arai, Yayoi Miyazono and Hidetoshi Takada (2024). Effect of maturation at birth on the clinical features of neonatal cow's milk protein allergy: A retrospective study. J Pediatr Gastroenterol Nutr. 2024 Feb 14., in press. DOI: 10.1002/jpn3.12157

課題番号	内容
2-1 106	Sho Hosaka, Kazuo Imagawa, Yusuke Yano, Lisheng Lin, Junko Shiono, Miho Takahashi-Igari, Hideki Hara Daisuke Hayashi, Hironori Imai Atsushi Morita, Hiroko Fukushima and Hidetoshi Takada (2024). The CXCL10-CXCR3 axis plays an important role in Kawasaki disease. Clin Exp Immunol., 216(1):104-111. doi: 10.1093/cei/uxad125. 2024 Mar
2-1 107	Michiru Shime, Yoshihiro Nozaki, Atsushi Morita, Takumi Ishiodori, Takashi Murakami, Hiro Yamasaki, Masayoshi Yamamoto and Hidetoshi Takada (2023). Life-threatening severe acute respiratory syndrome coronavirus-2 mRNA vaccine-associated myocarditis after COVID-19 myocarditis. J Paediatr Child Health, 59(12):1319-1322. doi: 10.1111/jpc.16498. 2023 Dec
2-1 108	Anri Amano, Motomichi Nagafuji, Satoshi Fujiyama, Daisuke Hitaka, Yayoi Miyazono and Hidetoshi Takada (2023). Immune response to Listeria monocytogenes infection in a preterm infant: A case report. Pediatr Neonatol., 64(6):698-700. doi: 10.1016/j.pedneo.2023.07.002. 2023 Nov
2-1 109	Sakura Kawahara, Kazuo Imagawa, Hisato Suzuki, Tatsuyuki Ohto and Hidetoshi Takada (2023). Marked hypertriglyceridemia with a novel splicing mutation in GPIIb/IIIa. Pediatr Int., 65(1):e15559. doi: 10.1111/ped.15559. 2023 Dec
2-1 110	Hiroko Fukushima, Ryoko Suzuki, Takahiro Hiraoka, Shigenobu Suzuki, Emiko Noguchi and Hidetoshi Takada (2023). A novel de-novo RB1 mutation identified in a patient with bilateral retinoblastoma. Jpn J Clin Oncol., 30;53(9):863-865. doi: 10.1093/jjco/hyad064. 2023 Aug
2-1 111	Takashi Fujita, Hiroko Fukushima, Toru Nanmoku, Yuki Arakawa, Takao Deguchi, Ryoko Suzuki, Yuni Yamaki, Sho Hosaka and Hidetoshi Takada (2023). Acute monocytic leukemia with KMT2A::LASP1 developed 9 months after diagnosis of acute megakaryoblastic leukemia in a 2-year-old boy. Int J Hematol., 118(4):514-518. doi: 10.1007/s12185-023-03622-x. 2023 Oct
2-1 112	Masako Inaba, Hiroko Fukushima, Monami Hara, Sho Hosaka, Satoshi Fujiyama, Kazushi Maruo, Toshifumi Nomura, Naoko Okiyama and Hidetoshi Takada (2023). Antigen-specific T cell balance reveals Why patients with atopic dermatitis fail to achieve immune tolerance. Clin Immunol., 252, 109649. doi: 10.1016/j.clim.2023.109649. 2023 July
2-1 113	Hiroko Fukushima, Ryoko Suzuki, Yuni Yamaki, Sho Hosaka, Masako Inaba, Kouji Masumoto, Ai Muroi, Takao Tsurubuchi, Reiko Okubo, Kyoko Hidaka, Masashi Mizumoto, Hideyuki Sakurai and Hidetoshi Takada (2023). Longitudinal health-related quality of life analysis in childhood cancer survivors after proton beam therapy. Int J Clin Oncol., Jul;28(7):928-939. doi: 10.1007/s10147-023-02353-7. 2023 July
2-1 114	Ryuichi Mashima, Mari Ohira, Torayuki Okuyama, Masafumi Onodera and Shuji Takada (2023). A novel mucopolysaccharidosis type II mouse model with an iduronate-2-sulfatase-P88L mutation, Sci Rep, 13(1):7865. doi: 10.1038/s41598-023-34541-w. 2023 May
2-1 115	高田英俊：クリオピリン関連周期熱症候群 日本医師会雑誌特別号，指定難病ペディア 2019, in press
2-1 116	高田英俊：IRAK4欠損症，MyD88欠損症 新臨床内科学，医学書院，in press
2-1 117	高田英俊：先天性免疫不全症 血液専門医テキスト，in press
2-1 118	倉田弘明，神野俊介，日高智子，尾上泰弘，菅 尚浩，高田英俊，大賀正一．小児におけるインフルエンザ抗原迅速診断検査の陽性率に影響する因子．小児感染免疫31（1）：13-19，2019
2-1 119	高田英俊：自己炎症性疾患 –最新の基礎・臨床治験– クリオピリン関連周期熱症候群（CAPS），日本臨床76巻10号1738-1744，2018
2-1 120	高田英俊：免疫不全と予防接種，臨床と研究96巻2号140-144，2019

課題番号	内容
2-1 121	高田英俊：DiGeorge症候群，小児内科50巻増刊号248-249，2018
2-1 123	濱崎考史，【小児疾患の診断治療基準】（第2部）疾患 先天代謝異常症 フェルニケトン尿症と類縁疾患，小児内科，2018，50巻増刊号154-155.
2-1 124	濱崎考史，【知っておくべき治療可能な胎児・新生児希少疾患】先天代謝異常 フェルニアラニン代謝異常症，2018，周産期医学，48巻10号1342-1346.
2-1 125	高田英俊．【指定難病ペディア2019】クリオピリン関連周期熱症候群．日本医師会雑誌．2019，148巻特別1 Page S178-S179.
2-1 126	高田英俊．【指定難病ペディア2019】クリオピリン関連周期熱症候群．日本医師会雑誌．2019，148巻特別1 Page S178-S179
2-1 127	高田英俊．IRAK4欠損症，MyD88欠損症新．2019，臨床内科学．医学書院
2-1 128	高田英俊．先天性免疫不全症．2019，血液専門医テキスト．日本血液学会
2-1 129	高田英俊．免疫抑制・免疫不全者への予防接種．臨床と研究．2019，96巻2号 Page140-144
2-1 130	高田英俊．小児の感染症．臨床と研究．2019．96巻7号 Page21-27
2-1 131	高田英俊．繰り返す発熱．臨床と研究．2019．，96巻9号 Page52-58
2-1 132	濱崎考史．代謝機能検査 テトヒドロピオプリン負荷試験．小児内科51巻4号513-515 2019
2-1 133	濱崎考史．アミノ酸代謝異常症（特集 新ガイドラインの理解を深める 新生児マススクリーニング）．小児科診療．2021 Feb;84(2):157-62.
2-1 134	濱崎考史．対象疾患の診療アミノ酸代謝異常症（特集みんなで役立てよう 新生児スクリーニング検査）．周産期医学．2021 51(2):181-4.
2-1 135	高田英俊：二次性免疫不全症．小児内科53巻増刊号病態生理2（東京医学社）．2021年53巻674-678.
2-1 136	高田英俊：よくみる症状 易感染 ～エキスパートの経験に学ぶ～ 小児科Decision Making．小児科診療（診断と治療社）2021年84巻Suppl. 15-18.
2-1 137	濱崎考史．【新生児マススクリーニングと治療の最前線】フェルニケトン尿症．遺伝子医学．2021;11(3):33-40.
2-1 138	濱崎考史．【新ガイドラインの理解を深める 新生児マススクリーニング】総論 アミノ酸代謝異常症．小児科診療．2021;84(2):157-162.
2-1 139	濱崎考史．【周産期医学必修知識(第9版)】先天性アミノ酸代謝異常症．周産期医学．2021;51(増刊):901-904.
2-1 140	濱崎考史．【小児疾患診療のための病態生理 3 改訂第6版】先天代謝異常 フェルニアラニン代謝異常症．小児内科．2022;54(増刊):36-43.
2-1 141	濱崎考史．【小児疾患診療のための病態生理 3 改訂第6版】先天代謝異常 フェルニアラニン代謝異常症．小児内科．2022;54(増刊):36-43.
2-1 142	中西真人 (2023). 「モノゲノムスベクター」、遺伝子治療開発研究ハンドブック 第2版、37- 43.
2-1 143	濱崎考史 (2023). BH4欠損症. In: 先天代謝異常症クリニカルファイル. 診断と治療社; :p63-66.
2-1 144	濱崎考史 (2024). 新生児マススクリーニング. In: 小児科診療・治療指針 改訂第3版. 中山書店; 2024:p2-p6.
2-1 145	真嶋隆一、奥山虎之 (2023). 「先天性代謝異常症—ライソゾーム病」. 医学のあゆみ、285(5): 398-403.
2-1 146	真嶋隆一、奥山虎之 (2023). 「ライソゾーム病のin vivo 遺伝子治療」. 遺伝子治療開発研究ハンドブック 第2版、354-357.
2-2 1	Aspects of gene therapy products using current genome-editing technology in Japan. Yamaguchi T, Uchida E, Okada T, Ozawa K, Onodera M, Kume A, Shimada T, Takahashi S, Tani K, Nasu Y, Mashimo T, Mizuguchi H, Mitani K, Maki K. Hum Gene Ther doi: 10.1089/hum.2020.156, 2020
2-2 2	Infectivity Assessment of Recombinant Adeno-Associated Virus and Wild-Type Adeno-Associated Virus Exposed to Various Diluents and Environmental Conditions. Tomono T, Hirai Y, Chono H, Mineno J, Ishii A, Onodera M, Tamaoka A, Okada T. Hum Gene Ther Methods 30:137-143, 2019
2-2 3	Gene suppressing therapy for Pelizaeus-Merzbacher disease using artificial microRNA. Li H, Okada H, Suzuki S, Sakai K, Izumi H, Matsushima Y, Ichinohe N, Goto YI, Okada T, Inoue K. JCI Insight 4:16, 2019
2-2 4	Tokuoka H, Imae R, Nakashima H, Manya H, Masuda C, Hoshino S, Kobayashi K, Lefeber D, Matsumoto R, Okada T, Endo T, Kanagawa M, Toda T. CDP-ribitol prodrug treatment ameliorates ISPD-deficient muscular dystrophy mouse model. Nat Commun. 13:1847. doi: 10.1038/s41467-022-29473-4 Apr. 14 2022

課題番号	内容
2-2 5	Adachi K, Tomono T, Okada H, Shiozawa Y, Yamamoto M, Miyagawa Y, Okada T. A PCR-amplified transgene fragment flanked by a single copy of a truncated ITR for rAAV production prevents unnecessary plasmid DNA packaging. <i>Gene Therapy</i> . doi: 10.1038/s41434-021-00299-x. 2021 Oct 11.
2-2 6	Wada M, Uchida N, Posadas-Herrera G, Kinoh H, Tsunekawa Y, Hirai Y, Okada T. Large-scale purification of functional AAV particles packaging the full genome using short-term ultracentrifugation with a zonal rotor. <i>Gene Therapy</i> . 2023. doi:10.1038/s41434-023-00398-x.
2-2 7	Takahashi K, Igarashi T, Miyake K, Kobayashi M, Katakai Y, Hayashita-Kinoh H, Fujimoto C, Kameya S, Takahashi H, Okada T. Amount of green fluorescent protein in the anterior chamber after intravitreal injection of triple-mutated self-complementary AAV2 vectors is not affected by previous vitrectomy surgery. <i>J Nippon Med Sch</i> . 88(2):103-108 doi: 10.1272/jnms.2021_88-203. 2021 Apr. 24.
2-2 8	Yuki Y, Nojima M, Hosono O, Tanaka H, Kimura Y, Satoh T, Imoto S, Uematsu S, Kurokawa S, Kashima K, Mejima M, Nakahashi-Ouchida R, Uchida Y, Marui T, Yoshikawa N, Nagamura F, Fujihashi K, Kiyono H. Assessment of Oral MucoRice-CTB vaccine for the safety and microbiota-dependent immunogenicity in humans: A Randomized Trial. <i>The Lancet Microbe</i> . https://doi.org/10.1016/S2666-5247(20)30196-8 , 2021.
2-2 9	Hiroaki Taniguchi, Yukikazu Natori, Yohei Miyagi, Kotaro Hayashi, Fumitaka Nagamura, Kazunori Kataoka, Kohzoh Imai. Treatment of primary and metastatic breast and pancreatic tumors upon intravenous delivery of a PRDM14-specific chimeric siRNA/nanocarrier complex. <i>Int J Cancer</i> . 2021 Aug 1;149(3):646-656.
2-2 10	Miyaoka R, Tsunekawa Y, Kurosawa Y, Sasaki T, Onodera A, Sakamoto K, Kakiuchi Y, Wada M, Nitahara-Kasahara Y, Hayashita-Kinoh H, Okada T. Development of a novel purification method for AAV vectors using tangential flow filtration. <i>Biotechnol Bioeng.</i> , 2023 Nov;120(11):3311-3321. doi:10.1002/bit.28524. Epub 2023 Aug 16.
2-3 1	Morokawa H, Yagyu S, Hasegawa A, Tanaka M, Saito S, Mochizuki H, Sakamoto K, Shimoi A, Nakazawa Y. Autologous non-human primate model for safety assessment of piggyBac transposon-mediated chimeric antigen receptor T cells on granulocyte-macrophage colony-stimulating factor receptor. <i>Clin Transl Immunology</i> . 2020;9(11):e1207. doi: 10.1002/cti2.1207.
2-3 2	Yagyu S, Mochizuki H, Yamashima K, Kubo H, Saito S, Tanaka M, Sakamoto K, Shimoi A, Nakazawa Y. Lymphodepleted non-human primate model for the assessment of acute on-target and off-target toxicity of human CAR-T cells. <i>Clin Transl Immunol</i> 10(6):e1291, 2021. doi: 10.1002/cti2.1291.
2-3 3	中沢洋三：急性骨髄性白血病に対するCAR-T細胞療法。血液内科 83 (3) : 377-382, 2021.
2-3 4	中沢洋三：急性骨髄性白血病に対するCAR-T細胞療法の現状と課題。医学のあゆみ 277 (10) : 907-911, 2021.
2-3 5	中沢洋三：霊長類モデルを用いた再生医療等製品の非臨床安全性評価基盤の開発。ファルマシア 57 (7) : 635-640, 2021.
2-3 6	柳生茂希, 中沢洋三：ビッグデータトランスポンを用いた遺伝子改変キメラ抗原受容体T細胞の開発。臨床免疫・アレルギー 75 (5) : 515-520, 2021.
2-3 7	Chinsuwan T, Hirabayashi K, Mishima S, Hasegawa A, Tanaka M, Mochizuki H, Shimoi A, Murakami M, Yagyu S, Shimizu K, Nakazawa Y. Ligand-based, piggyBac-engineered CAR-T cells targeting EGFR are safe and effective against non-small cell lung cancers. <i>Mol Ther Oncolytics</i> . 2023;31:100728. doi: 10.1016/j.omto.2023.100728.
2-4 1	Hemophilia gene therapy-New country initiatives.: Reiss UM, Zhang L, and Ohmori T. <i>Haemophilia</i> 2021 Feb;27 Suppl 3:132-141.
2-4 2	Intra-cisterna magna delivery of an AAV vector with the GLUT1 promoter in a pig recapitulates the physiological expression of SLC2A1.: Nakamura S, Osaka H, Muramatsu S, Takino N, Ito M, Jimbo E, Watanabe C, Hishikawa S, Nakajima T, and Yamagata T. <i>Gene Ther</i> . 2021 Jun;28(6):329-338.
2-4 3	Non-viral ex vivo genome-editing in mouse bone fide hematopoietic stem cells with CRISPR/Cas9.: Byambaa, S., Uosaki, H., Ohmori, T., Hara, H., Endo, H., Nureki, O., and Hanazono, Y. <i>Mol Ther Methods Clin Dev</i> . 2021 Jan 9;20:451-462.
2-4 4	Hemophilia gene therapy – Update on New country initiatives.: Reiss UM, Mahlangu J, Ohmori T, Ozalo MC, Srivastava A, and Zhang L. <i>Haemophilia</i> 2022;28:61-67.
2-4 5	Early distribution of 18F-labeled AAV9 vectors in the cerebrospinal fluid after intracerebroventricular or intracisternal magna infusion in non-human primates.: Kumagai S, Nakajima T, Shimazaki K, Kakiuchi T, Harada N, Ohba H, Onuki Y, Takino N, Ito M, Sato M, Nakamura S, Osaka H, Yamagata T, Kawai K, and Muramatsu SI. <i>J Gene Med</i> . 2023;25(1):e3457.
2-4 6	PAM-flexible Cas9-mediated base editing of a hemophilia B mutation in induced pluripotent stem cells.: Hiramoto T, Kashiwakura Y, Hayakawa M, Baatartsogt N, Kamoshita N, Abe T, Inaba H, Nishimasu H, Uosaki H, Hanazono Y, Nureki O, and Ohmori T. <i>Communications Medicine</i> 2023;3:56.
2-4 7	Genome editing of murine hepatocytes by AAV vector-mediated expression of Cas9 in vivo.: Kashiwakura Y, and Ohmori T. <i>Methods in Molecular Biology</i> 2023;2637:195-211.

課題番号	内容
2-4 8	Establishment of a flow cytometry screening method for patients with glucose transporter 1 deficiency syndrome.: Nakamura S, Ito Y, Hayakawa H, Aoki S, Yamagata T, and Osaka H. <i>Mol Genet Metab Rep</i> . 2023 Jan 2;34:100954.
2-4 9	An AsCas12f-based compact genome editing tool derived by deep mutational scanning and structural analysis.: Hino T, Omura SN, Nakagawa R, Togashi T, Takeda SN, Hiramoto T, Tasaka S, Hirano M, Aoki K, Okuno Y, Yamamichi A, Kato A, Motomura K, Matsuo K, Enomoto A, Ino Y, Todo T, Takahashi M, Wakabayashi T, Ohka F, Kato T, Natsume A: Aberrant active cis-regulatory elements associated with downregulation of RET finger protein overcome chemoresistance in glioblastoma. <i>Cell Reports</i> 26(9) : 2274-2281, 2019.
2-4 10	Enhanced Cochlear Transduction by AAV9 with High-Concentration Sucrose.: Noda M, Koshu R, Shimada Dias M, Saito C, Takino N, Ito M, Yoshimura H, Ito M, and Muramatsu SI. <i>Hum Gene Ther</i> . 2023 Oct;34(19-20):1064-1071.
2-5 1	Nakatake R, Kaibori M, Nakamura Y, Tanaka Y, Matsushima H, Okumura T, Murakami T, Ino Y, Todo T, Kon M: A third-generation oncolytic herpes simplex virus inhibits the growth of liver tumors in mice. <i>Cancer Sci</i> . 2018, 109(3), 600-610, doi: 10.1111/cas.13492. Epub 2018 Feb 14.C204:C279
2-5 2	Komuro A, Raja E, Iwata C, Soda M, Isogaya K, Yuki K, Ino Y, Morikawa M, Todo T, Aburatani H, Suzuki H, Ranjit M, Natsume A, Mukasa A, Saito N, Okada H, Mano H, Miyazono K, Koinuma D: Identification of a novel fusion gene HMG2-EGFR in glioblastoma. <i>Int J Cancer</i> . 2018, 142(8), 1627-1639, doi: 10.1002/ijc.31179.
2-5 3	田中実, 藤堂具紀：第3部 脳腫瘍の治療法 V. 注目されている治療法 4. ウイルス療法。日本脳神経外科学会・日本病理学会（編）：脳腫瘍取扱い規約 第4版 金原出版, 2018, pp.182-185.
2-5 4	Vu HT, Kobayashi M, Hegazy AM, Tadokoro Y, Ueno M, Kasahara A, Takase Y, Nomura N, Peng H, Ito C, Ino Y, Todo T, Nakada M, Hirao A: Autophagy inhibition synergizes with calcium mobilization to achieve efficient therapy of malignant gliomas. <i>Cancer Sci</i> . 2018, 109(8), 2497-2508 (2018) doi: 10.1111/cas.13695.
2-5 5	Funato K, Hayashi T, Echizen K, Negishi L, Shimizu N, Koyama-Nasu R, Nasu-Nishimura Y, Morishita Y, Tabar V, Todo T, Ino Y, Mukasa A, Saito N, Akiyama T: SIRT2-mediated inactivation of p73 is required for glioblastoma tumorigenicity. <i>EMBO Reports</i> . 2018, 19, doi: 10.15252/embr.201745587, Published online 13.09.2018
2-5 6	Ranjit M, Hirano M, Aoki K, Okuno Y, Yamamichi A, Kato A, Motomura K, Matsuo K, Enomoto A, Ino Y, Todo T, Takahashi M, Wakabayashi T, Ohka F, Kato T, Natsume A: Aberrant active cis-regulatory elements associated with downregulation of RET finger protein overcome chemoresistance in glioblastoma. <i>Cell Reports</i> 26(9) : 2274-2281, 2019.
2-5 7	Poh B, Koso H, Momota H, Komori T, Suzuki Y, Yoshida N, Ino Y, Todo T, Watanabe S: Foxr2 promotes formation of CNS-embryonal tumors in a Trp53-deficient background. <i>Neuro-Oncology</i> . 2019 Apr 12. pii: noz067. doi: 10.1093/neuonc/noz067. [Epub ahead of print].
2-5 8	Raja E, Morikawa M, Nishida J, Tanabe R, Takahashi K, Seeherman HJ, Saito N, Todo T, Miyazono K: Tyrosine kinase Eph receptor A6 sensitizes glioma-initiating cells towards bone morphogenetic protein-induced apoptosis. <i>Cancer Sci</i> 110: 3486-3496, 2019. [DOI:10.1111/cas.14187]
2-5 9	Taguchi S, Fukuhara H, Todo T: Oncolytic virus therapy in Japan: progress in clinical trials and future perspectives. <i>Jpn J Clin Oncol</i> 49(3): 201-209, 2019. [doi: 10.1093/jcco/hyy170.]
2-5 10	伊藤博崇、藤堂具紀：遺伝子組換えがん治療用ウイルスーがん免疫療法のKey Player。実験医学 37 (15): 122-125, 2019.
2-5 11	Matsushima H, Kaibori M, Hatta M, Ishizaki M, Nakatake R, Okumura T, Yoshii K, Todo T: Efficacy of a third-generation oncolytic herpes simplex virus in neuroendocrine tumor xenograft models. <i>Oncotarget</i> 10(67): 7132-7141, 2019. [doi: 10.18632/oncotarget.27391]
2-5 12	藤堂具紀、伊藤博崇：革新的抗がんウイルス療法の実用化臨床研究。医学のあゆみ。271(9): 916-922, 2019.
2-5 13	伊藤博崇、藤堂具紀：遺伝子治療各論：脳腫瘍。CLINICAL NEUROSCIENCE 38(3): 359-364, 2020.
2-5 14	Oku M, Ishino R, Uchida S, Imataki O, Sugimoto N, Todo T, Kadowaki N: Oncolytic HSV-1 in combination with lenalidomide for plasma cell neoplasms. <i>Br J Haematol</i> 192: 343-353, 2021. (published online Nov.20, 2020) [doi: 10.1111/bjh.17173]
2-5 15	Ishino R, Kawase Y, Kitawaki T, Sugimoto N, Oku M, Uchida S, Imataki O, Matsuoka A, Taoka T, Kawakami K, van Kuppevelt TH, Todo T, Takaori-Kondo A, Kadowaki N: Oncolytic virus therapy with HSV-1 for hematologic malignancies. <i>Mol Ther</i> 29 (2): 762-774, 2021. (published online Sep. 30, 2020) [doi: 10.1016/j.ymthe.2020.09.041]
2-5 16	伊藤博崇、藤堂具紀：悪性神経腫に対するウイルス療法。Medical Science Digest 46 (8): 18-21, 2020. (国内)
2-5 17	伊藤博崇、藤堂具紀：がん治療用ウイルス。Medical Science Digest 46 (12): 9-12, 2020. (国内)
2-5 18	奥山龍平、藤堂具紀：悪性黒色腫に対する最新ウイルス療法ーT-hIL12の医師主導試験。Precision Medicine 3 (12): 1-4, 2020. (国内)

課題番号	内容
2-5 19	Matsumura S, Nakamori M, Tsuji T, Kato T, Nakamura M, Ojima T, Fukuhara H, Ino Y, Todo T, Yamaue H: Oncolytic virotherapy with SOCS3 enhances viral replicative potency and oncolysis for gastric cancer. <i>Oncotarget</i> 12(4): 344-354, 2021. [doi: 10.18632/oncotarget.27873]
2-5 20	Fukasawa K, Kadota T, Horie T, Tokumura K, Terada R, Kitaguchi Y, Park G, Ochiai S, Iwahashi S, Okayama Y, Hiraiwa M, Yamada T, Iezaki T, Kaneda K, Yamamoto M, Kitao T, Shirahase H, Hazawa M, Wong RW, Todo T, Hirao A, Hinoi E: CDK8 maintains stemness and tumorigenicity of glioma stem 1 cells by regulating the c-MYC pathway. <i>Oncogene</i> 40(15): 2803-2815, 2021. [doi: 10.1038/s41388-021-01745-1. Epub 2021 Mar 16]
2-5 21	Tanabe R, Miyazono K, Todo T, Saito N, Iwata C, Komuro A, Sakai S, Raja E, Koinuma D, Morikawa M, Westermark B, Heldin C-H: PRRX1 induced by BMP signaling decreases tumorigenesis by epigenetically regulating glioma-initiating cell properties via DNA methyltransferase 3A. <i>Mol Oncol</i> 2021. [Jul 2, 2021. doi: 10.1002/1878-0261.13051. Online ahead of print]
2-5 22	Fukuhara H, Takeshima Y, Todo T: Triple-mutated oncolytic herpes virus for treating both fast- and slow-growing tumors. <i>Cancer Sci</i> 112: 3293-3301, 2021. [Epub 2021 May 25. doi: 10.1111/cas.14981]
2-5 23	Hiraiwa M, Fukasawa K, Iezaki T, Sabit H, Horie T, Tokumura K, Iwahashi S, Murata M, Kobayashi M, Park G, Kaneda K, Todo T, Hirao A, Nakada M, Hinoi E: SMURF2 phosphorylation at Thr249 modifies glioma stemness and tumorigenicity by regulating TGF-β receptor stability. <i>Commun Biol</i> 5 (1): 22, 2022. [Jan 11, doi: 10.1038/s42003-021-02950-0]
2-5 24	伊藤博崇, 藤堂具紀: ウイルスによるがん治療 1) 脳腫瘍に対するウイルス療法. <i>腫瘍内科</i> 28 (2): 173-178, 2021.
2-5 25	Hatta M, Kaibori M, Matsushima H, Yoshida T, Okumura T, Hayashi M, Yoshii K, Todo T, Sekimoto M: Efficacy of a third-generation oncolytic herpes simplex virus in refractory soft tissue sarcoma xenograft models. <i>Mol Ther Oncolytics</i> 25: 225-235, 2022 [doi: 10.1016/j.omto.2022.04.010].
2-5 26	伊藤博崇, 藤堂具紀: 新しいがん治療法 5) がん治療用遺伝子組換えウイルス. <i>腫瘍内科</i> 29 (5): 557-562, 2022.
2-5 27	Jing Y, Kobayashi M, Vu H, Kasahara A, Chen X, Pham L, Kurayoshi K, Tadokoro Y, Ueno M, Todo T, Nakada M, Hirao A: Therapeutic advantage of targeting lysosomal membrane integrity supported by lysophagy in malignant glioma. <i>Cancer Sci</i> 113 (8):2716-2726, 2022 [doi: 10.1111/cas.15451. Epub 2022 Jun 27.]
2-5 28	Fukuhara H, Sato YT, Hou J, Iwai M, Todo T: Fusion peptide is superior to co-expressing subunits for arming oncolytic herpes virus with interleukin 12. <i>Commun Med (Lond)</i> 3 (1): 40, 2023 [doi: 10.1038/s43856-023-00270-4. First published March 25, 2023].
2-5 29	Fukasawa K, Lyu J, Suzuki A, Horie T, Kubo T, Tomizawa A, Osumi R, Iwahashi S, Tokumura K, Murata M, Kobayashi M, Todo T, Hirao A, Hinoi E: MEK5-ERK5 axis promotes self-renewal and tumorigenicity of glioma stem cells via the STAT3 pathway. <i>Cancer Res Commun</i> 3 (1): 148-159, 2023 [doi: 10.1158/2767-9764.CRC-22-0243. eCollection 2023 Jan].
2-5 30	Nomura T, Endo S, Kuwano T, Fukasawa K, Takashima S, Todo T, Furuta K, Yamamoto T, Hinoi E, Koyama H, Honda R: ARL-17477 is a dual inhibitor of NOS1 and the autophagic-lysosomal system that prevents tumor growth in vitro and in vivo. <i>Sci Rep</i> 13(1):10757, 2023 [doi: 10.1038/s41598-023-37797-4.].
2-5 31	田中美, 藤堂具紀: III.各種疾患 3.脳腫瘍 2)悪性神経腫瘍に対するウイルス療法. In 鈴木則宏, 荒木信夫, 宇川義一, 桑原聡, 堀川芳昭 (編) : <i>Annual Review 神経2023</i> . 東京, 中外医学社, 2023. pp.180-187.
2-5 32	田中美, 藤堂具紀: IV章 遺伝子治療 8. がんのウイルス療法. <i>日本医師会雑誌 (特別号(1) 遺伝を考える)</i> 152: 283-286, 2023.
2-5 33	伊藤博崇, 藤堂具紀: 第2章がん免疫療法 7. ウイルス療法. In <i>先進医療フォーラム (編) : 先進医療NAVIGATORがん免疫療法最前線</i> . 東京, 日本医学出版, 2023, pp.59-61.
2-5 34	田中美, 藤堂具紀: がん治療の革新: ウイルス療法. <i>Precision Medicine</i> 7(3): 174-175, 2024.
2-5 35	奥山隆平, 藤堂具紀: 悪性黒色腫に対する最新ウイルス療法—T-HIL12の医師主導治験. <i>Precision Medicine</i> 7(3): 167-170, 2024.
2-5 36	奥山隆平, 藤堂具紀: 悪性黒色腫の治療法として期待されるウイルス療法. <i>Precision Medicine</i> 7(3): 182-185, 2024.
2-5 37	Khasraw M, Hotchkiss KM, Karschnia P, Schreck KC, Geurts M, Cloughesy TF, Huse J, Duke ES, Lathia J, Ashley DM, Nduom EK, Long G, Singh K, Chalmers A, Ahluwalia MS, Heimberger A, Bagley S, Todo T, Verhaak R, Kelly PD, Hervey-Jumper S, de Groot J, Patel A, Fecci P, Parney I, Wykes V, Watts C, Burns T, Sanai N, Preusser M, Tonn JC, Drummond KJ, Platten M, Das S, Tanner K, Vogelbaum MA, Weller M, Whittle JR, Berger M. A brave new paradigm for glioma drug development. <i>Lancet Oncol</i> 2024 (in press).
2-5 38	Kinoshita Y, Sugihara T, Yasunaga H, Matsui H, Ishikawa A, Fujimura T, Fukuhara H, Ishibashi Y, Fushimi K, Homma Y. Hospital-volume effects on perioperative outcomes in peritoneal dialysis catheter implantation: analysis of 2,505 cases. <i>Perit Dial Int</i> . 38, 419-423, 2018.

課題番号	内容
2-5 39	Taguchi S, Fukuhara H*, Miyakawa J, Morikawa T, Naito A, Kawai T, Fujimura T, Kume H. Prognostic significance of neutrophil-to-lymphocyte ratio in collecting duct carcinoma. <i>Jpn J Clin Oncol</i> . 48, 692-694, 2018.
2-5 40	Otsuka M, Taguchi S, Nakagawa T, Morikawa T, Maekawa S, Miyakawa J, Matsumoto A, Miyazaki H, Fujimura T, Fukuhara H, Kume H, Igawa Y, Homma Y. Clinical significance of random bladder biopsy in primary T1 bladder cancer. <i>Mol Clin Oncol</i> . 8, 665-670, 2018.
2-5 41	Aizawa N, Watanabe D, Fukuhara H, Fujimura T, Kume H, Homma Y, Igawa Y. Inhibitory effects of silodosin on the bladder mechanosensitive afferent activities and their relaxation with bladder myogenic contractions in male rats with bladder outlet obstruction. <i>Neurourol Urodyn</i> . 37, 1897-1903, 2018.
2-5 42	Akiyama Y, Niimi A, Nomiya A, Yamada Y, Nakagawa T, Fujimura T, Fukuhara H, Kume H, Igawa Y and Homma Y. Extent of Hunner lesions: the relationships with symptom severity and clinical parameters in patients with Hunner-type interstitial cystitis. <i>Neurourol Urodyn</i> . 37, 1441-1447, 2018.
2-5 43	Niimi A, Igawa Y, Aizawa N, Honma T, Nomiya A, Akiyama Y, Kamei J, Fujimura T, Fukuhara H and Homma Y. Diagnostic value of urinary CXCL10 as a biomarker for predicting Hunner type interstitial cystitis. <i>Neurourol Urodyn</i> . 37, 1113-1119, 2018.
2-5 44	Yamada Y, Fujimura T, Fukuhara H, Sugihara T, Nakagawa T, Kume H, Igawa Y, Homma Y. Predictors of Early Continence after Robot-assisted Radical Prostatectomy. <i>Low Urin Tract Symptoms</i> . 10, 287-291, 2018.
2-5 45	Matsumoto A, Nakagawa T, Kanatani A, Ikeda M, Kawai T, Miyakawa J, Taguchi S, Naito A, Otsuka M, Nakanishi Y, Suzuki M, Koga F, Nagase Y, Kondo Y, Okaneya T, Tanaka Y, Miyazaki H, Fujimura T, Fukuhara H, Kume H, Igawa Y, Homma Y. Preoperative chronic kidney disease is predictive of oncological outcome of radical cystectomy for bladder cancer. <i>World J Urol</i> . 36, 249-256, 2018.
2-5 46	Fujimura T, Igawa Y, Aizawa N, Niimi A, Yamada Y, Sugihara T, Kamei J, Sato Y, Matsunaga A, Yoshida M, Shinoda Y, Fukuhara H, Nakagawa T, Homma Y, Kume H. Longitudinal change of comprehensive lower urinary tract symptoms and various types of urinary incontinence during robot-assisted radical prostatectomy. <i>Neurourol Urodyn</i> 38, 1067-1075, 2019.
2-5 47	Akiyama Y, Daichi M, Katoh H, Morikawa T, Niimi A, Nomiya A, Sato Y, Kawai T, Goto A, Fujimura T, Fukuhara H, Nakagawa T, Igawa Y, Ishikawa S, Fukayama M, Kume H, Homma Y. Molecular Taxonomy of Interstitial Cystitis/Bladder Pain Syndrome Based on Whole Transcriptome Profiling by Next-Generation RNA Sequencing of Bladder Mucosal Biopsies. <i>J Urol</i> . 202, 290-300, 2019.
2-5 48	Kinjo M, Yamaguchi T, Tambo M, Okegawa T, Fukuhara H. Effects of Mirabegron on Anxiety and Depression in Female Patients with Overactive Bladder. <i>Urol Int</i> . 102, 331-335, 2019.
2-5 49	Higashihara E, Horie S, Muto S, Kawano H, Tambo M, Yamaguchi T, Taguchi S, Kaname S, Yokoyama K, Yoshioka T, Fukukawa T, Fukuhara H. Imaging Identification of Rapidly Progressing Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease: Simple Eligibility Criterion for Tolvaptan. <i>American Journal of Nephrology</i> , 51, 891-890, 2020.
2-5 50	Kinjo M, Masuda K, Nakamura Y, Taguchi S, Tambo M, Okegawa T, Fukuhara H. Effects on depression and anxiety after mid-urethral sling surgery for female stress urinary incontinence. <i>Research and Reports in Urology</i> , 12, 495-501, 2020.
2-5 51	Higashihara E, Fukuhara H, Ouyang J, Lee J, Nutahara K, Tanbo M, Yamaguchi T, Taguchi S, Muto S, Kanayama S, Miyazaki I, Horie S. Estimation of changes in kidney volume growth rate in autosomal dominant polycystic kidney disease. <i>Kidney Int Rep.</i> , 5, 1459-1471, 2020.
2-5 52	Omura S, Taguchi S, Miyagawa S, Matsumoto R, Samejima M, Ninomiya N, Masuda K, Nakamura Y, Yamaguchi T, Kinjo M, Tambo M, Okegawa T, Higashihara E, Fukuhara H. Prognostic significance of the albumin-to-globulin ratio for upper tract urothelial carcinoma. <i>BMC Urology</i> , 20, 133, 2020.
2-5 53	Naito A, Taguchi S, Suzuki M, Kawai T, Uchida K, Fujimura T, Fukuhara H, Kume H. Transient acute kidney injury observed immediately after robot-assisted radical prostatectomy but not after open radical prostatectomy. <i>Molecular and Clinical Oncology</i> , 13, 18, 2020.
2-5 54	Okegawa T, Omura S, Samejima M, Ninomiya N, Taguchi S, Nakamura Y, Yamaguchi T, Tambo M, Fukuhara H. Laparoscopic radical prostatectomy versus robot-assisted radical prostatectomy: comparison of oncological outcomes at a single center. <i>Prostate Int</i> . 8, 16-21, 2020.
2-5 55	Tambo M, Taguchi S, Nakamura Y, Okegawa T, Fukuhara H. Presepsin and procalcitonin as predictors of sepsis based on the new Sepsis-3 definition in obstructive pyelonephritis. <i>BMC Urol</i> . 20, 23, 2020.
2-5 56	Masuda K, Aizawa N, Watanabe D, Okegawa T, Kume H, Igawa Y, Fukuhara H. Pathophysiological changes of the lower urinary tract behind voiding dysfunction in streptozotocin-induced long-term diabetic rats. <i>Scientific Reports</i> . 10, 4182, 2020.
2-5 57	Kakutani S, Asamoto M, Araki F, Chen YN, Shinokawa M, Okagami Y, Ohata T, Taguchi S, Yamada Y, Takeshima Y, Kume H, Yamada Y, Aihara M, Ito N, Fukuhara H. Prospective evaluation of visual function in patients with ocular diseases after robotic-assisted laparoscopic prostatectomy. <i>Int J Urol</i> . 27, 307-312, 2020.
2-5 58	Tambo M, Inoue T, Miura H, Matsuzaki J, Nutahara K, Hamamoto S, Okada S, Fukuhara H, Fujisawa M, Matsuda T. A novel flexible ureteroscope with omnidirectional bending tip using joystick-type control unit (URF-Y0016): initial validation study in bench models. <i>J Endourol</i> . 34, 676-681, 2020.

課題	番号	内容
2-5	59	Shimizu T, Yamaguchi K, Yamamoto M, Kurioka R, Kino Y, Matsunaga W, Nakao S, Fukuhara H, Tanaka A, Gotoh A, Mabuchi M. Identification of HUHS190, a human naftopidil metabolite, as a novel anti-bladder cancer drug. <i>Bioorg Med Chem Lett.</i> 30, 126744, 2020.
2-5	60	Yoshida A, Arai Y, Hama N, Chikuta H, Bando Y, Nakano S, Kobayashi E, Shibahara J, Fukuhara H, Komiyama M, Watanabe SI, Tamura K, Kawai A, Shibata T. Expanding the clinicopathologic and molecular spectrum of BCOR-associated sarcomas in adults. <i>Histopathology</i> 76, 509-520, 2020.
2-5	61	Higashihara E, Nutahara K, Itoh M, Okegawa T, Tambo M, Yamaguchi T, Nakamura Y, Taguchi S, Kaname S, Yokoyama K, Yoshioka T, Fukuhara H. Long-Term Outcomes of Longitudinal Efficacy Study With Tolvaptan in ADPKD. <i>Kidney Int Rep.</i> 7, 270-281, 2021.
2-5	62	Taguchi S, Kawai T, Nakagawa T, Nakamura Y, Kamei J, Obinata D, Yamaguchi K, Kaneko T, Kakutani S, Tokunaga M, Uemura Y, Sato Y, Fujimura T, Fukuhara H, Enomoto Y, Nishimatsu H, Takahashi S, Kume H. Prognostic significance of the albumin-to-globulin ratio for advanced urothelial carcinoma treated with pembrolizumab: a multicenter retrospective study. <i>Sci Rep.</i> 11, 15623, 2021.
2-5	63	Shigemori K, Higashihara E, Itoh M, Yoshida H, Yamamoto K, Nutahara K, Shikawa Y, Kaname S, Tambo M, Yamaguchi T, Taguchi S, Yoshioka T, Yokoyama K, Fukuhara H. PKD1-associated Arachnoid Cysts in Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease. <i>J Stroke Cerebrovasc Dis.</i> 30, 105943, 2021.
2-5	64	Matsumura S, Nakamori M, Tsuji T, Kato T, Nakamura M, Ojima T, Fukuhara H, Ino Y, Todo T, Yamaue H. Oncolytic virotherapy with SOCS3 enhances viral replicative potency and oncolysis for gastric cancer. <i>Oncotarget</i> , 12, 344-354, 2021.
2-5	65	Taguchi S, Nakagawa T, Uemura Y, Akamatsu N, Gonoï W, Naito A, Kawai T, Kume H, Fukuhara H. Comparison of major definitions of sarcopenia based on the skeletal muscle index in patients with urothelial carcinoma. <i>Future Oncology</i> , 17, 197-203, 2021.
2-5	66	Taguchi S, Tambo M, Watanabe M, Machida H, Kariyasu T, Fukushima K, Shimizu Y, Okegawa T, Yokoyama K, Fukuhara H. Prospective validation of Vesical Imaging-Reporting and Data System (VI-RADS) using a next-generation magnetic resonance imaging scanner: Is denoising deep learning reconstruction useful? <i>J Urol</i> 205. 686-692, 2021.
2-5	67	Kinjo M, Nakamura Y, Taguchi S, Yamaguchi T, Tambo M, Okegawa T, Fukuhara H. Sex differences in prevalence and patient behavior regarding lower urinary tract symptoms among Japanese medical checkup examinees. <i>Urology</i> , 151, 24-30, 2021.
2-5	68	Inoue T, Okada S, Hamamoto S, Miura H, Matsuzaki J, Tambo M, Fukuhara H, Fujisawa M, Matsuda T, Nutahara K. Evaluation of flexible ureteroscope with an omni-directional bending tip, using a JOYSTICK unit (URF-Y0016); an ex-vivo study. <i>World Journal of Urology</i> , 39, 209-215, 2021.
2-5	69	Sugimoto K, Taguchi S, Kishitani K, Kawai T, Masuda K, Nakamura Y, Kinjo M, Tambo M, Miyakawa J, Akiyama Y, Yamada Y, Sato Y, Yamada D, Nakagawa T, Fukuhara H, Kume H. Comparison of full-dose gemcitabine/cisplatin, dose-reduced gemcitabine/cisplatin, and gemcitabine/carboplatin in real-world patients with advanced urothelial carcinoma. <i>BMC Urol.</i> 22, 177, 2022.
2-5	70	Taguchi S, Kawai T, Nakagawa T, Miyakawa J, Kishitani K, Sugimoto K, Nakamura Y, Kamei J, Obinata D, Yamaguchi K, Kaneko T, Yoshida K, Yamamoto S, Kakutani S, Kanazawa K, Sugihara Y, Tokunaga M, Matsumoto A, Uemura Y, Akiyama Y, Yamada Y, Sato Y, Yamada D, Enomoto Y, Nishimatsu H, Ishikawa A, Tanaka Y, Nagase Y, Fujimura T, Fukuhara H, Takahashi S, Kume H. Improved survival in real-world patients with advanced urothelial carcinoma: A multicenter propensity score-matched cohort study comparing a period before the introduction of pembrolizumab (2003-2011) and a more recent period (2016-2020). <i>Int J Urol.</i> 29, 1462-1469, 2022.
2-5	71	Kato T, Yokomizo A, Matsumoto R, Tohi Y, Miyakawa J, Mitsuzuka K, Sasaki H, Inokuchi J, Matsumura M, Sakamoto S, Kinoshita H, Fukuhara H, Kamiya N, Kimura R, Nitta M, Okuno H, Akakura K, Kakehi Y, Sugimoto M. Comparison of the medical costs between active surveillance and other treatments for early prostate cancer in Japan using data from the PRIAS-JAPAN study. <i>Int J Urol.</i> 29, 1271-1278, 2022.
2-5	72	Tohi Y, Kato T, Miyakawa J, Matsumoto R, Sasaki H, Mitsuzuka K, Inokuchi J, Matsumura M, Yokomizo A, Kinoshita H, Hara I, Kawamura N, Hashimoto K, Inoue M, Teishima J, Kanno H, Fukuhara H, Maruyama S, Sakamoto S, Saito T, Kakehi Y, Sugimoto M. Impact of adherence to criteria on oncological outcomes of radical prostatectomy in patients opting for active surveillance: data from the PRIAS-JAPAN study. <i>Jpn J Clin Oncol.</i> 52, 1056-1061, 2022.
2-5	73	Shishido T, Okegawa T, Hayashi K, Masuda K, Taguchi S, Nakamura Y, Tambo M, Fukuhara H. Laparoscopic retroperitoneal lymph node dissection versus open retroperitoneal lymph node dissection for testicular cancer: A comparison of clinical and perioperative outcomes. <i>Asian J Urol</i> , 9, 119-124, 2022.
2-5	74	Mochida Y, Ochiai K, Nagase T, Nonomura K, Akimoto Y, Fukuhara H, Sakai T, Matsumura G, Yamaguchi Y, Nagase M. Piezo2 expression and its alteration by mechanical forces in mouse mesangial cells and renin-producing cells. <i>Sci Rep.</i> 12, 4197, 2022.
2-5	75	Kawai T, Taguchi S, Nakagawa T, Kamei J, Nakamura Y, Obinata D, Yamaguchi K, Kaneko T, Kakutani S, Tokunaga M, Uemura Y, Sato Y, Enomoto Y, Nishimatsu H, Fujimura T, Fukuhara H, Takahashi S, Kume H. Impact of immune-related adverse events on the therapeutic efficacy of pembrolizumab in urothelial carcinoma: a multicenter retrospective study using time-dependent analysis. <i>J Immunother Cancer.</i> 10, e003965, 2022.
2-5	76	Nakamura Y, Taguchi S, Kinjo M, Tambo M, Okegawa T, Fukuhara H. Adrenal metastasis in nivolumab-treated renal cell carcinoma: A unique entity as a sanctuary site. <i>Int. J Urol.</i> 29, 597-599, 2022.
2-5	77	Yokomizo A, Yonese J, Egawa S, Fukuhara H, Uemura H, Nishimura K, Nagata M, Saito A, Lee T, Yamaguchi S, Nonomura N. Real-world use of enzalutamide in men with nonmetastatic castration-resistant prostate cancer in Japan. <i>Int J Clin Oncol.</i> 27, 418-426, 2022.
2-5	78	Tohi Y, Kato T, Nakamura M, Matsumoto R, Sasaki H, Mitsuzuka K, Inokuchi J, Hashine K, Yokomizo A, Naito H, Hara I, Kawamura N, Inoue M, Fukuhara H, Maruyama S, Sakamoto S, Saito T, Egawa S, Kakehi Y, Sugimoto M. Deferred radical prostatectomy in patients who initially elected for active surveillance: a multi-institutional, prospective, observational cohort of the PRIAS-JAPAN study. <i>Int J Clin Oncol.</i> 27, 194-201, 2022.

課題	番号	内容
2-5	79	Kinjo M, Tanba M, Masuda K, Nakamura Y, Tanbo M, Fukuhara H. Comparison of effectiveness between modified transvaginal mesh surgery and vaginal pessary treatment in patients with symptomatic pelvic organ prolapse. <i>Low Urin Tract Symptoms.</i> 14, 64-71, 2022.
2-5	80	Oshina T, Taguchi S, Miyakawa J, Akiyama Y, Sato Y, Kawai T, Fukuhara H, Nakagawa T, Kume H. Clinicopathological features and oncological outcomes of urothelial carcinoma involving the ureterovesical junction. <i>Jpn J Clin Oncol.</i> 52, 65-72, 2022.
2-5	81	Tohi Y, Kato T, Yokomizo A, Mitsuzuka K, Tomida R, Inokuchi J, Matsumoto R, Saito T, Sasaki H, Inoue K, Kinoshita H, Fukuhara H, Maruyama S, Sakamoto S, Tanikawa T, Egawa S, Ichikura H, Abe T, Nakamura M, Kakehi Y, Sugimoto M. Impact of health-related quality of life on repeat protocol biopsy compliance on active surveillance for favorable prostate cancer; results from a prospective cohort in the Prostate Cancer Research International: Active Surveillance (PRIAS)-JAPAN study. <i>Urol Oncol.</i> 40, 56.e.9-e15, 2022.
2-5	82	Kato T, Hiram A, Mitsuzuka K, Maruyama S, Sasaki H, Saito T, Matsumoto R, Sakamoto S, Sakai Y, Fukuhara H, Naya Y, Tsukino H, Hara I, Ogawa O, Hashine K, Fumimasa F, Yokomizo A, Tohi Y, Kakehi Y, Sugimoto M. Reclassification prediction of first-year protocol biopsy on active surveillance of prostate cancer by p2PSA-related parameters: from PRIAS-JAPAN. <i>Prostate Cancer Prostatis Dis.</i> 25, 666-671, 2022.
2-5	83	Hattori-Kato M, Okuno Y, Zaitus M, Fukuhara H, Nomiya A, Mikami K, Takeuchi T. Hypomethylation of a CpG Site in the CpG Island of the Aquaporin 1 Gene May Be Involved in the Formation of Adult-Onset Non-communicating Hydrocele Testis. <i>Cureus.</i> 15, e47651, 2023.
2-5	84	Okuno Y, Hori M, Hattori-Kato M, Fukuhara H, Nomiya A, Mikami K, Takeuchi T. Structural Analysis of the Colony-Stimulating Factor 3 Gene of Granulocyte Colony-Stimulating Factor-Producing Urothelial Cancer. <i>Cureus.</i> 15, e43981, 2023.
2-5	85	Taguchi S, Kawai T, Ambe Y, Kishitani K, Sugimoto K, Miyakawa J, Nakamura Y, Noda M, Kaneko T, Kamei J, Obinata D, Yamaguchi K, Kakutani S, Furuya Y, Sato Y, Uemura Y, Akiyama Y, Yamada Y, Sato Y, Yamada D, Enomoto Y, Nishimatsu H, Fujimura T, Fukuhara H, Nakagawa T, Takahashi S, Kume H. Enfortumab vedotin versus platinum rechallenge in post-platinum, post-pembrolizumab advanced urothelial carcinoma: A multicenter propensity score-matched study. <i>Int J Urol.</i> 30, 1180-1186, 2023.
2-5	86	Kitamura J, Tambo M, Nishijima A, Masuda K, Miyakawa J, Nakamura Y, Fujiwara M, Kishida T, Ito H, Fukuhara H. Surgical resection in patient with teratoma with somatic-type malignancy transformed into rhabdomyosarcoma resulted in long-term survival. <i>IJU Case Rep.</i> , 6, 302-305, 2023.
2-5	87	Taguchi S, Kawai T, Buti S, Bersanelli M, Uemura Y, Kishitani K, Miyakawa J, Sugimoto K, Nakamura Y, Niimi F, Kaneko T, Kamei J, Obinata D, Yamaguchi K, Kakutani S, Kanazawa K, Sugihara Y, Tokunaga M, Akiyama Y, Yamada Y, Sato Y, Yamada D, Enomoto Y, Nishimatsu H, Fujimura T, Fukuhara H, Nakagawa T, Takahashi S, Kume H. Validation of a drug-based score in advanced urothelial carcinoma treated with pembrolizumab. <i>Immunotherapy</i> , 15, 827-837, 2023.
2-5	88	Iwaki T, Akiyama Y, Nosato H, Kinjo M, Niimi A, Taguchi S, Yamada Y, Sato Y, Kawai T, Yamada D, Sakanashi H, Kume H, Homma Y, Fukuhara H. Deep Learning Models for Cystoscopic Recognition of Hunner Lesion in Interstitial Cystitis. <i>Eur Urol Open Sci.</i> 49, 44-50, 2023.
2-5	89	Kinjo M, Masuda K, Nakamura Y, Miyakawa J, Tambo M, Fukuhara H. Comparison of mirabegron and vibegron in women with treatment-naïve overactive bladder: a randomized controlled study. <i>Urology</i> 175, 67-73, 2023.
2-5	90	Ochiai K, Mochida Y, Nagase T, Fukuhara H, Ymaguchi Y, Nagase M. Upregulation of piezo2 in the mesangial, renin, and perivascular mesenchymal cells of the kidney of Dahl salt-sensitive hypertensive rats and its reversal by esaxerenone. <i>Hypertens Res.</i> 46, 1234-1246, 2023.
2-5	91	Kinjo M, Masuda K, Nakamura Y, Taguchi S, Tambo M, Fukuhara H. Does metabolic syndrome influence the efficacy of mirabegron treatment in female patients with overactive bladder? <i>Int Urogynecol J.</i> 34, 853-859, 2023.
2-5	92	Higashihara E, Harada T, Fukuhara H. Juxtaglomerular apparatus-mediated homeostatic mechanisms: therapeutic implication for chronic kidney disease. <i>Expert Opin Pharmacother.</i> 25, 819-832, 2024.
2-5	93	Yamada Y, Fujii Y, Kakutani S, Kimura N, Sugimoto K, Hakozaiki Y, Sugihara T, Takeshima Y, Kawai T, Nakamura M, Kamei J, Taguchi S, Akiyama Y, Sato Y, Yamada D, Urabe F, Miyazaki H, Enomoto Y, Fukuhara H, Nakagawa T, Fujimura T, Kume H. Development of risk-score model in patients with negative surgical margin after robot-assisted radical prostatectomy. <i>Sci Rep.</i> 14, 7607, 2024.
2-5	94	Takeuchi T, Hattori-Kato M, Okuno Y, Nomiya A, Fukuhara H, Zaitus M, Azuma T. A Genome-Wide Association Study of Prostate Cancer Susceptibility Using Occupational and Environmental Factors as Confounding Factors. <i>Cureus.</i> 16, e52926, 2024.
2-5	95	Taguchi S, Sugawara K, Gonoï W, Hanaoka S, Shiomi S, Kishitani K, Uemura Y, Akamatsu N, Inui S, Tanaka K, Yagi K, Kawai T, Nakagawa T, Fukuhara H, Abe O, Seto Y, Gonzalez MC, Prado CM, Kume H. The importance of ethnic-specific cut-offs of low muscle mass for survival prediction in oncology. <i>Clin Nutr.</i> 43, 134-141, 2024.

(学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表)

53

課題番号	内容
1 1	日本における遺伝子治療とウイルス療法規制科学, 第56回日本癌治療学会, 2018/10/19, 国内, 口頭
1 2	遺伝子・細胞治療用ベクター新規大量製造技術開発: 「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクト~革新的な新薬創出への挑戦~, 口頭, 峰野純一, 2018年度公開シンポジウム, 2019/3/4, 国内.
1 3	バイオ医薬品製造技術の未来を考える: -バイオ医薬品生産技術-現状と課題への取組み-, 大政健史, 神戸創薬セミナー, 2019/3/5, 国内, 口頭
1 4	次世代バイオ医薬品製造技術研究組合における研究開発: バイオ医薬品高度製造から遺伝子治療まで, 口頭, 大政健史, CPhI Japan 2019, 2019/3/19, 国内.
1 5	Introduction of Manufacturing Technology Association of Biologics, Global Forum on the Trends & Prospects of Regenerative Medicine, 2019/7/18, 海外, 口頭
1 6	AAVベクター開発の軌跡と遺伝子治療への展開 (Development of Adeno-associated virus vectors towards clinical gene therapy), 岡田尚巳, 国際遺伝子細胞治療シンポジウム シンポジウム(1)テーマ: 「遺伝子治療薬の実用化の軌跡, 2019/7/20, 国内, 口頭
1 7	Improved gene transduction in non-human primate muscle with recombinant AAV following immunomodulation using dental pulp stem cells, Ishii A, Hayashita-Kinoh H, Posadas-Herrera Guillermo, Okada H, Takeda S, Okada T, The 25th Annual Meeting of Japan Society of Gene and Cell Therapy, 2019/7/21, 国内, 口頭.
1 8	Development of an oligonucleotide delivery system based on AAV empty capsids, Posadas-Herrera Guillermo, Masuda C, Hayashita-Kinoh H, Miyagawa Y, Okada T, The 25th Annual Meeting of Japan Society of Gene and Cell Therapy, 2019/7/22, 国内, 口頭.
1 9	Determination of anti-adeno-associated virus vector neutralizing antibody titer with a modified cell-based assay, Hayashita-Kinoh H, Nitahara-Kasahara Y, Kuraoka M, Posadas-Herrera Guillermo, Okada H, Ishii A, Takeda S, Okada T, The 25th Annual Meeting of Japan Society of Gene and Cell Therapy, 2019/7/22, 国内, ポスター.
1 10	AAVベクター-基盤技術開発と神経筋疾患に対する遺伝子細胞治療, 岡田尚巳, 第25回日本遺伝子細胞治療学会ランチョンセミナー, 2019/7/22, 国内, 口頭
1 11	Comparative stability analysis of recombinant AAV and wild-type AAV under various conditions to consider environmental effect assessment, Tomono T, Hirai Y, Chono H, Mineno J, Ishii A, Tamaoka A, Onodera M, Okada T, The 25th Annual Meeting of Japan Society of Gene and Cell Therapy, 2019/7/22, 国内, ポスター.
1 12	Analytical ultracentrifugation assays to characterize the purity of recombinant adeno-associated viral type-9 vectors (rAAV9), Hirai Y, Tomono T, Miyagawa Y, Ishii A, Tamaoka A, Onodera M, Okada T, The 25th Annual Meeting of Japan Society of Gene and Cell Therapy(Tokyo), 2019/7/22, 国内, ポスター.
1 13	Current Status of Gene Therapy in Japan- Regulatory Issues, Yamaguchi T, Uchida E, 第25回日本遺伝子細胞治療学会, 2019/7/22, 国内, 口頭.
1 14	抗体医薬から遺伝子治療まで-生産技術を考える, Nova Advanced Cell Scienceセミナー-2019「培養細胞が拓く未来」, 大政健史, 2019/8/1, 国内, 口頭
1 15	遺伝子治療の現状と課題, 岡田尚巳, 第61回歯科基礎医学学会学術大会, 2019/10/14, 国内, 口頭.
1 16	日本における遺伝子治療の規制とレギュラトリーサイエンス, RINK 2019年度 第1回公開フォーラム, 2019/9/4, 国内, 口頭
1 17	Advanced platform process for the purification of adeno-associated virus vectors using a novel impurity removal technology and a new affinity matrix, 未岡拓馬, BioProcess International, 2020/9/21-25, 国外, ポスター
1 18	遺伝子治療-神経筋疾患に対する遺伝子細胞治療の課題と展望-, 岡田尚巳, 第30回JBICバイオ関連基盤技術研究, 2019/9/30, 国内
1 19	遺伝子治療の開発と規制の現状と課題, 内田恵理子, 第30回JBICバイオ関連基盤技術研究会, 2019/9/30, 国内, 口頭
1 20	次世代バイオ医薬品製造技術研究組合の活動について-抗体医薬から遺伝子治療まで-, 大政健史, BioJapan2019, 2019/10/11, 国内, 口頭
1 21	遺伝子治療の現状と課題, 岡田尚巳, 日本人類遺伝学会第64回大会 教育セッション2, 2019/11/7, 国内, 口頭.
1 22	AAVベクター-基盤技術開発とDMDに対する遺伝子細胞治療, 岡田尚巳, 群馬大学ウイルスベクター開発研究センタースタートアップシンポジウム(群馬), 2019/12/11, 国内, 口頭.
1 23	Takara Bio's CDMO Service for Cell and Gene Therapies, 蝶野英人, 第10回国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム, 2020/1/16, 国内, 口頭
1 24	Development of an Advanced Purification Platform Process for Adeno-associated Viruses using a Novel Impurity Removal Technology and a New Affinity Matrix, 西八條正克, The American Society of Gene & Cell Therapy (ASGCT) 23rd Annual Meeting (Web), 2020/5/12, 国外, ポスター

(学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表)

54

課題番号	内容
1 25	ウイルスベクター品質管理における物理化学解析, 内山進, BioJapan2020, 2020/10/16, 国内, 口頭
1 26	抗体医薬から遺伝子治療まで~次世代製造のプラットフォームを目指して~, 大政健史, BioJapan, 2020/10/14-16, 国内, 口頭
1 27	Development of an Advanced Purification Platform Process for Adeno-associated Viruses using a Novel Impurity Removal Technology and a New Affinity Matrix (AAV精製用アフィニティー担体及び前処理技術について), 八浦妃佐子, 第43回日本分子生物学会, 2020/12/2-4, 国内, ポスター
1 28	Establishment of a novel strategy to encapsidate a PCR-amplified transgene fragment into recombinant adeno-associated virus capsid without non-vector genome packaging, Kumi Adachi, Taro Tomono, Hironori Okada, Yusuke Shiozawa, Yoshitaka Miyagawa, Takashi Okada, 第43回日本分子生物学会, 2020/12/2-4, 国内, ポスター
1 29	今、我が国の遺伝子細胞治療の課題を整理する, 国内でのGLP非臨床/臨床用ウイルスベクターの製造, 概論及び最近のトピックス, 岡田尚巳, 第11回国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム, 2021/1/21, 国内, 口頭
1 30	今、我が国の遺伝子細胞治療の課題を整理する, 国内でのGLP非臨床/臨床用ウイルスベクターの製造, ウイルスベクター製造プロセスの実情, 内田和久, 第11回国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム, 2021/1/21, 国内, 口頭
1 31	遺伝子事業~遺伝子・細胞治療用ベクターのプラットフォーム製造技術の開発, 大政健史, bioLIVE 2021, 2021/4/14, 国内, 口頭
1 32	前処理によるキャプチャーロマト工程のプロセス強化と連続生産の安定化, 水口和信, 第42回動物細胞工学シンポジウム「産学連携が生み出すバイオ医薬品の連続生産技術」, 2021/5/17, 国内, 口頭
1 33	Advances in gene therapies and genome editing tools 遺伝子治療とゲノム編集技術の進歩, 岡田尚巳, 医科研創立記念シンポジウム 2021/5/28, 国内, 口頭
1 34	バイオ医薬品と遺伝子治療ウイルスベクターの分析・品質管理と規制科学 遺伝子治療の開発動向と課題, 岡田尚巳, 蛋白質科学会ワークショップ, 2021/6/17, 国内, 口頭
1 35	Development of Novel Impurities Removal Technology and New Affinity matrix for Advanced Purification Platform Process of Adeno-associated Virus Vector, 西八條正克, 日本遺伝子細胞治療学会 2021/9/27, 国内, 口頭
1 36	Large-scale purification of functional recombinant adeno-associated virus with short-term zonal ultracentrifugation. 岡田尚巳, 第27回日本遺伝子細胞治療学会, 2021/9/27, 国内, 口頭
1 37	遺伝子細胞治療ベクター技術の進化と今後の可能性, 岡田尚巳, 遺伝子細胞治療の最新情報と新規モダリティについてのパネルディスカッションBioJapan主催者セミナー: 創薬モダリティの進化, 2021/10/15, 国内, 口頭
1 38	不純物除去技術によるウイルスベクター精製のプロセス強化について, 西八條正克, 第73回生物工学会大会, 2021/10/27-29, 口頭, 国内, 口頭
1 39	バイオ医薬品, 抗体, 遺伝子治療ベクター, の質量分析による解析, 内山 進, 第3回 ファーマラボEXPO, 2021/12/8, 国内, 口頭
1 40	バイオ医薬品, 抗体, 遺伝子治療ベクター, の質量分析による解析, 内山進, 第3回 ファーマラボEXPO, 2021/12/8, 国内, 口頭
1 41	AAVベクター大量製造と品質評価, 岡田尚巳, AAVベクター製造における大量調製の課題と解決策 ニューモダリティ (mRNA/ウイルス) 製品開発・製造技術の最新動向, 第23回インターフェックスジャパン, 2021/12/8, 国内, 口頭
1 42	AAVの組織指向性変更のご研究について in vivo遺伝子治療におけるbiodistributionの考え方や試験デザイン等について, 岡田尚巳, 第6回DIA再生医療製品・遺伝子治療用製品シンポジウム「再生医療等製品の生体内分布」ブレゼンテーションとパネルディスカッションAAVの組織指向性変更-遺伝子治療用製品の生体内分布をデザインする- 2021/12/13-14, 国内, 口頭
1 43	Characterization of Primary and Higher-Order Structures for AAV Vectors, 内山進, PEP TALK, 2022/1/19, 口頭
1 44	遺伝子・細胞治療の現状と課題, 岡田尚巳, 神戸医療産業都市推進機構 再生医療産業化フォーラム, 2022/1/27, 国内, 口頭
1 45	AAVベクターの分析と品質管理の現状と展望, 内山進, 第4回自治医科大学遺伝子治療研究センター (JMU-CGTR) シンポジウム2022, 2022/2/3, 口頭
1 46	バイオロジクス生産研究の現状と課題 -抗体医薬から遺伝子治療用ベクター製造まで-, 大政健史, インターフェックス大阪, 2022/3/9, 国内, 口頭
1 47	社会実装を目指した次世代バイオ医薬品製造技術開発 --抗体医薬から遺伝子治療用ベクターまで--, 大政健史, bioLive2022, 2022/4/21, 国内, 口頭
1 48	遺伝子治療製造技術開発事業について, 大政健史他, bioLive2022, 2022/4/21-23, 国内, 口頭
1 49	Comprehensive particle characterization of adeno-associated virus vector by analytical ultracentrifugation, 丸野孝浩, 第25回アメリカ遺伝子細胞治療学会年会 (ASGCT2022), 2022/5/16, 海外, ポスター

課題	番号	内容
1	50	Detailed, comprehensive and reliable size distribution analysis of recombinant adeno associated virus vectors, 内山進, 第25回アメリカ遺伝子細胞治療学会年会 (ASGCT2022), 2022/5/16, 海外, ポスター
1	51	Recombinant adeno-associated virus vector adsorption: A better way to control, Salama Ramy, 第25回アメリカ遺伝子細胞治療学会年会 (ASGCT2022), 2022/5/16, 海外, ポスター
1	52	High-quality purification at a large scale for recombinant adeno-associated virus using short-term zonal ultracentrifugation, 和田美加子, 25th ASGCT (American Society of Gene & Cell Therapy), 2022/5/16, 海外, ポスター
1	53	バイオメディカル分析用粒子標準試料の開発経緯, 本田真也, 国衛研創薬基盤事業キックオフ会議, 2022/6/13, 国内, 口頭
1	54	遺伝子治療ウイルスベクター-アデノ随伴ウイルスの分析と品質管理, 内山進, 第21回蛋白質科学学会年会ワークショップ「バイオ医薬品と遺伝子治療ウイルスベクターの分析・品質管理と規制科学」, 2021/6/16, 国内, 口頭
1	55	遺伝子治療用ウイルスベクターの質量分析による分析と品質管理, 内山進, 第70回質量分析総合討論会, 2022/6/24, 国内, 口頭
1	56	Biophysical characterization of antibody therapeutics and virus vectors for gene therapy by mass spectrometry, 内山進, 10th Asia-Oceania Human Proteome Organization Congress, 2021/6/29, 海外, 口頭
1	57	Comprehensive size distribution analysis of recombinant adeno associated virus vectors, 内山進, AUC2022, the 25th International Analytical Ultracentrifugation Workshop and Symposium, 2022/7/10, 海外, 口頭
1	58	Comprehensive size distribution analysis of recombinant adeno associated virus vectors, 丸野孝浩, AUC2022, the 25th International Analytical Ultracentrifugation Workshop and Symposium, 2022/7/13, 海外, 口頭
1	59	アデノ随伴ウイルスベクターの分析と品質管理の現状と展望, 内山進, 第28回日本遺伝子細胞治療学会学術集会, 2022/7/14, 国内, 口頭
1	60	アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターの抽出法開発, 内山進, 第28回日本遺伝子細胞治療学会学術集会 2022/7/14, 国内, 口頭
1	61	大規模製造に向けたソール超遠心による短時間高精度組換えアデノ随伴ウイルスベクター精製法の開発, 和田美加子, 第28回日本遺伝子細胞治療学会学術集会, 2022/7/14, 国内, 口頭
1	62	アデノ随伴ウイルスベクターの分析と品質管理の現状と展望, 内山進, 第28回日本遺伝子細胞治療学会学術集会, 2022/7/14-16, 国内, 口頭
1	63	Establishment of new human amniotic epithelial cell lines for scalable production of recombinant adeno-associated viral vectors for gene therapy, 堀内貴之, JAACT2022, 2022/7/26, 国内, ポスター
1	64	JAACT発足30周年を振り返って: バイオ医薬品から食と健康まで, 大政健史, JAACT, 2022/7/26, 国内, 口頭
1	65	バイオメディカル分析用粒子標準試料の開発: 候補粒子のスクリーニング, 車裕輝, 第39回工アロソル科学・技術研究討論会, 2022/8/3, 国内, ポスター
1	66	Standard particle with optical property resembling biomolecular particles for characterizations of subvisible particles using flow imaging microscopy, 栗之丸隆章, 2022 Colorado Protein Stability Conference, 2022/8/8, 海外, ポスター
1	67	Biophysical characterizations and stability assessment of AAV vectors for gene therapy, 内山進, 2022 Colorado Protein Stability Conference, 2022/8/8, 海外, 口頭
1	68	高耐久性有機シリカハイブリッドカラムYMC-Triart, 渡部毅, 第34回バイオメディカル分析科学シンポジウム, 2022/9/2, 国内, ポスター
1	69	AAVベクターの物理化学分析と品質管理, 内山進, 日本遺伝子治療学会ランチョンセミナー, 2021/9/9, 国内, 口頭
1	70	オリゴ核酸・mRNAなど新創薬モルティペのHPLC分離, 渡部毅, JASIS 2022 新技術説明会, 2022/9/9, 国内, 口頭
1	71	AAV製造とQC-dd PCRとNGSの活用-, 内田和久, Droplet Digital PCR Symposium 2022 (BioRad), 2022/9/14, 国内, 口頭
1	72	Biophysical characterizations of AAV vectors for gene therapy, 内山進, Gene Forum, 2022/9/26, 海外, 口頭
1	73	Lower cost production process of linear covalently closed DNA (LCC DNA) by E. coli fermentation leads to high quality and low cost rAAV manufacturing, 前田博文, BPI Boston 2022, 2022/9/27, 国内, ポスター
1	74	ウイルスベクターの分析と品質管理の現状と展望, 内山進, ACT japanフォーラム, 2022/10/4, 国内, 口頭
1	75	バイオロジクス分野への最新の核酸分析法の応用, 内田和久, 神戸大学先端バイオ工学研究センター第二回成果発表会, 2022/10/6, 国内, 口頭
1	76	Design of efficient chromatography processes of bio-nanoparticles based on linear gradient elution data, 山本修一, Asian Congress of Biotechnology 2022, 2022/10/11, 海外, 口頭

課題	番号	内容
1	77	遺伝子治療用AAVベクターの品質管理の現状と展望, 内山進, BioJapan2022, 2022/10/12, 国内, 口頭
1	78	遺伝子・細胞御治療用ベクターのプラットフォーム製造技術開発〜次世代バイオ医薬品製造技術研究組合での取組について〜, 大政健史, BioJapan2022スポンサーセミナー, 2022/10/13, 国内, 口頭
1	79	遺伝子治療用AAVベクターの品質管理の現状と展望, 内山進, International oncolytic virotherapy conference, 2022/10/23, 国内, ポスター
1	80	Comprehensive particle characterization of adeno-associated virus vector by multiwavelength sedimentation velocity analytical ultracentrifugation, 丸野孝浩, 2022 The 14th International Oncolytic Virotherapy Conference (IOVC), 2022/10/23, 海外, ポスター
1	81	Accurate measurement of particle number concentration in liquid at NMJ: with applications for biomedical and cellular analyses, 車裕輝, CCQM Workshop on Particle Metrology, 2022/10/25-27, 海外, 口頭
1	82	Biophysical characterizations and quality assessment of AAV vectors for gene therapy, 内山進, 2022 4th Annual Gene Therapy Analytical Development summit, 2022/11/28, 海外, ポスター
1	83	ヒト不死化細胞株を用いた効率的なAAVベクター生産技術の開発, 宮川世志幸, 第45回日本分子生物学会, 2022/11/30, 国内, ポスター
1	84	Manufacturing challenges for biologics production in Manufacturing Technology Association of Biologics (MAB), 大政健史, BigC2022(Bio-Pharm Incheon Global Conference), 2022/11/30, 海外, 口頭
1	85	日本の遺伝子治療 この30年 何が変わり、何が変わらなかったのか, 小野寺雅史, 第7回DIA再生医療製品・遺伝子治療用製品シンポジウム, 2022/12/15, 国内, 口頭
1	86	Downstream process intensification for adeno-associate virus vector using a novel impurity removal technology, 北野光昭, PEPTALK 2023, 2023/1/16, 海外, ポスター
1	87	Biophysical Characterizations of AAV Vectors with Small Volume, 内山進, PEPTALK 2023, 2023/1/17, 海外, 口頭
1	88	バイオメディカル分析用粒子標準試料の開発経緯, 本田真也, AMED創薬基盤推進研究事業「先端的バイオ医薬品の最適な実用化促進のためのCMC分野における創薬基盤技術の高度化に関する研究」第二回班会議, 2023/2/17, 国内, 口頭
1	89	ヒトIPS 細胞および遺伝子治療ウイルスベクターを製造するためのスケールアップ培養装置, 和田昌憲, 第22回日本再生医療学会総会シンポジウム 2「細胞治療・遺伝子治療をより普及させるための大量培養技術」, 2023/3/25, 国内, 口頭
1	90	抗体医薬から遺伝子治療用ベクターまで〜次世代バイオ医薬品製造技術研究組合におけるAMEDプロジェクトの紹介〜, 大政健史他, 次世代バイオ医薬品製造技術研究組合, CPhI Japan2023 スポンサーセミナー, パネル展示, 2023/4/19-21, 国内, ポスター
1	91	Small amount evaluation for AAV vectors by band sedimentation analytical ultracentrifugation, Tomohito Nakayama, Takahiro Maruno, Mitsuko Fukuhara, Kentaro Ishii, Tetsuo Torisu, Susumu Uchiyama, 2023/5/2-4, 4th Annual Gene Therapy Analytical Development Europe Summit, 海外, ポスター
1	92	Biophysical Characterizations of AAV Vectors, Susumu Uchiyama, 2023/5/4, 4th Gene Therapy Analytical Development Europe, 海外, 口頭
1	93	Small volume analytical ultracentrifugation of AAV vectors based on the band sedimentation velocity method, Takahiro Maruno, Mitsuko Fukuhara, Kentaro Ishii, Tetsuo Torisu, Susumu Uchiyama, 2023/5/16-20, 26th Annual Meeting of American Society of Gene & Cell Therapy, 海外, ポスター
1	94	Characterization of Adeno-associated Virus Composed of N-terminal Clipped VP3, Takayuki Onishi, Michika Nonaka, Kentaro Ishii, Takahiro Maruno, Mitsuko Fukuhara, Tetsuo Torisu, Maeda Masaharu, Noriko Yamano-Adachi, Takeshi Omasa, Susumu Uchiyama, 2023/5/16-20, 26th Annual Meeting of American Society of Gene & Cell Therapy, 海外, ポスター
1	95	Utility and Limitation of Density Gradient Analytical Ultracentrifugation for the Quantitative Characterization of Adeno-Associated Virus Vector, Kiichi Hirohata, Takahiro Maruno, Yuki Yamaguchi, Tetsuo Torisu, Susumu Uchiyama, 2023/5/16-20, 26th Annual Meeting of American Society of Gene & Cell Therapy, 海外, ポスター
1	96	Gene therapy for Neurodegenerative disorders at Osaka University, Hideki Mochizuki, 2023/5/16-20, 26th Annual Meeting of American Society of Gene & Cell Therapy, 海外, 口頭
1	97	Automatic Classification System of Adeno-Associated Virus Vector Particles (アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクター粒子の自動判別システムの開発), 松坂恭成, 東京大学第22回生命科学シンポジウム, 2023/6/17, 国内, 口頭
1	98	Biophysical Characterizations of AAV Vectors, 内山進, 韓国蛋白質科学会生物物理学会, 2023/6/21, 国外, 口頭
1	99	AAVカプシドタンパク質の質量分析による解析, 内山進, プロテインメトリクス第一回ユーズ会, 2023/6/27, 国内, 口頭
1	100	droplet digital PCRやNGSによるAAVウイルスベクターの不純物核酸の定量分析, 内田和久, 東山紀代子, 苑宇哲, 橋場倫子, 増見恭子, 遊佐啓介, 2023/7/21, 第47回日本動物細胞工学会シンポジウム, 国内, 口頭
1	101	〜次世代バイオ医薬品製造技術研究組合における取り組み1〜アデノ随伴ウイルス(AAV)ウイルスベクターの品質分析の現状と課題, 第47回動物細胞工学会シンポジウム, 内山進, 2023/7/21, 国内, 口頭
1	102	バイオ医薬品粒子計測のための新規標準試料の紹介, 本田真也, 車裕輝, 高畑圭二, 高橋より, 桜井博, 佐々木草, 野田尚宏, AMED創薬基盤推進研究事業「先端的バイオ医薬品の最適な実用化促進のためのCMC分野における創薬基盤技術の高度化に関する研究」第1回全体班会議, 2023/7/26, 国内, 口頭

(学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表)

課題番号	内容
1 103	アデノ随伴ウイルスベクターの一次および高次構造解析, 内山進, 質量分析フォーラム, 2023/8/2 (東京) 8/9 (大阪), 国内, 口頭
1 104	動物細胞を用いたバイオ医薬生産: 次の100年に向けて, 大政健史, 第75回日本生物工学会大会, 2023/9/4, 国内, 口頭
1 105	浮遊HEK293細胞に適したAAVベクター-高産生用完全合成培地, 蝶野英人, 第29回日本遺伝子細胞治療学会(JSGCT2023), 2023/9/11-13, 国内, 口頭
1 106	Fix-bed バイオフィクサーでのレンチウイルスベクター産生用新規培地の開発, 蝶野英人, 第29回日本遺伝子細胞治療学会(JSGCT2023), 2023/9/11-13, 国内, 口頭
1 107	大規模製造に向けたゾーナル超遠心による短時間高精度組換えアデノ随伴ウイルスベクター精製法の開発, 和田美加子, 第29回日本遺伝子細胞治療学会(JSGCT2023), 2023/9/11-13, 国内, 口頭
1 108	ドロップデジタルPCR法を用いたアデノ随伴ウイルスベクターのゲノムタイター定量試験における検体前処理条件が定量値に及ぼす影響の評価と前処理手順の最適化, 齋藤俊介, 内田和久, 第29回日本遺伝子細胞治療学会, 2023/9/11-13, 国内, 口頭
1 109	droplet digital PCRやNGSによるAAVウイルスベクターの不純物核酸の定量分析, 内田和久, 東山紀代子, 苑宇哲, 橋場倫子, 増見恭子, 遊佐啓介, 2023/9/11-13, 第29回日本遺伝子細胞治療学会/シンポジウム, 国内, 口頭
1 110	アデノ随伴ウイルスベクター試料に含まれる粒子成分の包括的評価~Comprehensive evaluation of particle components in adeno-associated virus vector samples~, 丸野孝浩, 栗之丸隆章, 野田勝紀, 福原充子, 廣畑貴一, 津中康央, 山口祐希, 鳥巢哲生, 内山進, 第29回日本遺伝子細胞治療学会, 2023/9/11-13, 国内, 口頭
1 111	高品質なAAVベクターの製造 (High-quality AAV vector manufacturing), 福原充子, 丸野孝浩, 尾中萌, 板東香林, 渋谷理紗, 津中康央, 山口祐希, 内山進, 第29回日本遺伝子細胞治療学会, 2023/9/11-13, 国内, 口頭
1 112	Enhancement of recombinant adeno-associated virus activity by improved stoichiometry and homogeneity of capsid protein assembly, Takayuki Onishi, Michika Nonaka, Takahiro Maruno, Yuki Yamaguchi, Mitsuko Fukuhara, Tetsuo Torisu, Noriko Yamano-Adachi, Takeshi Omasa, Susumu Uchiyama, 第29回日本遺伝子細胞治療学会 (JSGCT2023), 2023/9/11-13, 国内, 口頭
1 113	Quantification of full and empty particles of Adeno-Associated Virus vectors by a novel Dual Fluorescence-Linked Immunosorbent Assay (dFLISA), Sereirath Soth, Mikako Takakura, Tetsuo Torisu, Susumu Uchiyama, 第29回日本遺伝子細胞治療学会(JSGCT2023), 2023/9/11-13, 国内, 口頭
1 114	アデノ随伴ウイルスベクターの品質管理, 内山進, 第29回日本遺伝子細胞治療学会, 2023/9/11-13, 国内, 口頭
1 115	AAVベクターを用いた遺伝子治療用製品に関する規制科学研究, 山本武範, 第29回日本遺伝子細胞治療学会, 2023/9/11-13
1 116	アカデミア用GMP準拠ウイルスベクター製造基盤技術の開発, 和田美加子, 第29回日本遺伝子細胞治療学会, 2023/9/11-13
1 117	ウイルスベクターの品質分析の現状と展望, 内山進, 第29回日本遺伝子細胞治療学会, 2023/9/11-13, 国内, 口頭
1 118	Establishment of new human amniotic epithelial cell lines for scalable production of recombinant adeno-associated viral vectors for gene therapy, 堀内貴之, 第29回日本遺伝子細胞治療学会, 2023/9/11-13, 国内, 口頭
1 119	Current status and challenges of analysis and quality control of AAV vectors, Susumu Uchiyama, 第5回バイオフォーメセミナー2023, 2023/9/15, 国内, 口頭
1 120	Comprehensive and orthogonal characterization of adeno-associated virus vectors Takahiro Maruno, Kimotoshi Takeda, Takaaki Kurinamaru, Kentaro Ishii, Kayoko Hayashihara-Kakuho, Megumi Onaka, Risa Shibuya, Mitsuko Fukuhara, Masanori Noda, Susumu Uchiyama, 第5回バイオフォーメセミナー2023, 2023/9/15, 国内, 口頭
1 121	Next generation linear dsDNA construct without bacterial sequences: a replacement for circular plasmid DNA to advance a field of biologics, BioProcess International Conference & Exhibition 2023, 前田博文, 2023/9/18, 海外, ポスター
1 122	HDX-MS for probing the higher-order structure of adeno-associated virus capsids. Tomohiko Ikeda, Yuki Yamaguchi, Mitsuko Fukuhara, Yasuo Tsunaka, Aoba Matsushita, Tetsuo Torisu, Susumu Uchiyama, 2023/10/6-7, 3rd International BMS Symposium 2023, 国内, ポスター
1 123	Characterization of AAV genome release by Mass Photometry, Saki Shimojo, Yuki Yamaguchi, Tomohiko Ikeda, Tetsuo Torisu, Yasuo Tsunaka, Mitsuko Fukuhara, Susumu Uchiyama, 2023/10/6-7, 3rd International BMS Symposium 2023, 国内, ポスター
1 124	Enhancement of recombinant adeno-associated virus activity by improved stoichiometry and homogeneity of capsid protein assembly, Takayuki Onishi, Michika Nonaka, Takahiro Maruno, Yuki Yamaguchi, Mitsuko Fukuhara, Tetsuo Torisu, Masaharu Maeda, Susan Abbatiello, Anisha Haris, Keith Richardson, Kevin Giles, Steve Preece, Noriko Yamano-Adachi, Takeshi Omasa, Susumu Uchiyama, 2023/10/6-7, 3rd International BMS Symposium 2023, 国内, ポスター
1 125	Orthogonal methods for size distribution analysis of adeno-associated virus vector for gene therapy. Susumu Uchiyama, 2023/10/6-7, 3rd International BMS Symposium 2023 in Kyoto, 国内, 口頭
1 126	産薬応用に向けた遺伝子・細胞治療用ベクター新規大量製造技術開発 次世代バイオ医薬品製造技術研究組合での取組みについて, 大政健史, 堀内貴之, 峰野純一, 内山進, 小野寺雅史, 次世代バイオ医薬品製造技術研究組合, BioJapan2023 セミナー, 2023/10/13, 国内, 口頭
1 127	A novel AAV vector production medium for large scale manufacturing, Hideto Chono, ESGCT 30th ANNUAL CONGRESS, 2023/10/24, 海外, ポスター
1 128	Enhancement of recombinant adeno-associated virus activity by improved stoichiometry and homogeneity of capsid protein assembly, Takayuki Onishi, Michika Nonaka, Takahiro Maruno, Yuki Yamaguchi, Mitsuko Fukuhara, Tetsuo Torisu, Masaharu Maeda, Susan Abbatiello, Anisha Haris, Keith Richardson, Kevin Giles, Steve Preece, Noriko Yamano-Adachi, Takeshi Omasa, Susumu Uchiyama, 2023/11/7, 大阪大学×上海交通大学交流会, 国内, 口頭

(学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表)

課題番号	内容
1 129	Quantification of Full and Empty Particles of Adeno-Associated Virus Vectors by a Novel Dual Fluorescence-Linked Immunosorbent Assay (dFLISA), Sereirath Soth, Mikako Takakura, Masahiro Suekawa, Takayuki Onishi, Takahiro Maruno, Fukuhara Mitsuko, Yasuo Tsunaka, Tetsuo Torisu, Susumu Uchiyama, 2023/11/7, 大阪大学×上海交通大学交流会, 国内, 口頭
1 130	Enhancement of recombinant adeno-associated virus activity by improved stoichiometry and homogeneity of capsid protein assembly, Takayuki Onishi, Michika Nonaka, Takahiro Maruno, Yuki Yamaguchi, Mitsuko Fukuhara, Tetsuo Torisu, Masaharu Maeda, Susan Abbatiello, Anisha Haris, Keith Richardson, Kevin Giles, Steve Preece, Noriko Yamano-Adachi, Takeshi Omasa, Susumu Uchiyama, 2023/11/27-30, 5th Gene Therapy Analytical Development Summit, 海外, ポスター
1 131	Characteristics of transfection reagents for obtaining high rAAV vector production, 内田和久, 日本動物細胞工学会(JAECT2023国際会議), 2023/11/28, 国内, 口頭
1 132	Scalable Production of AAV Vectors in 10 L Single-Use Orbital Shaken Bioreactors Using Novel Human Amniotic Epithelial-Derived HAT Cell Lines, 堀内貴之, 日本動物細胞工学会(JAECT2023国際会議), 2023/11/28, 国内, ポスター
1 133	Investigation of Genome Packaging-Related Factors of AAV Vectors in the Novel Human Amniotic Epithelial-Derived HAT Cell Lines for Host Cell Development, 堀内貴之, 日本動物細胞工学会(JAECT2023国際会議), 2023/11/28, 国内, ポスター
1 134	Characterization of adeno-associated virus genome release by mass photometry, Saki Shimojo, Yuki Yamaguchi, Tomohiko Ikeda, Tetsuo Torisu, Yasuo Tsunaka, Mitsuko Fukuhara, Susumu Uchiyama, 2024/1/22-23, 第6回EXCELLシンポジウム, 国内, ポスター
1 135	遺伝子治療薬の不溶性微粒子評価のための新規標準粒子候補の開発, 令和5年度AMED創薬基盤推進研究事業「先端のバイオ医薬品の最適な実用化促進のためのCMC分野における創薬基盤技術の高度化に関する研究」第2回全体班会議, 栗之丸隆章, 2024/2/9, 国内, 口頭
1 136	Biophysical characterizations of recombinant adeno-associated virus for gene therapy, Yuki Yamaguchi, Susumu Uchiyama, Academia Sinica, 2024/3/7, 海外, 口頭
1 137	新創薬モダリティのLC分離のポイントと最新カラムの紹介, 高橋良輔, 日本薬学会 第144年会, 2024/3/28, 国内, 口頭
1 138	マクロバイオ交換担体, 高橋良輔, 日本薬学会 第144年会, 2024/3/28, 国内, ポスター
1 139	産薬応用に向けた遺伝子・細胞治療用ベクター新規大量製造技術開発 次世代バイオ医薬品製造技術研究組合の研究開発結果について -, 大政健史, 堀内貴之, 峰野純一, 内山進, 小野寺雅史, 福原彩乃, CPHI Japan 2024/バイオフォーメセミナー, 2024/04/17, 国内, 口頭
1 140	HDX-MS for probing structure of adeno-associated virus capsid, 池田智彦, 4TH INTERNATIONAL CONFERENCE ON HYDROGEN DEUTERIUM EXCHANGE MASS SPECTROMETRY, 2024/04/21, 海外, ポスター
1 141	Correlation analyses of the quality attributes of adeno-associated virus vectors revealed the positive impact of the viral protein 2 ratio on transduction efficiency, Takahiro Maruno, Mitsuko Fukuhara, Yasuo Tsunaka, Aoba Matsushita, Kiichi Hirohata, Karin Bandoh, Megumi Onaka, Risa Shibuya, Yuki Yamaguchi, Yoshiki Nagashima, Daisuke Higo, Toshie Kuwahara, Tomoko Ueno, Masaharu Maeda, Guirong Kanai-Bai, Noriko Yamano-Adachi, Tetsuo Torisu, Takeshi Omasa, and Susumu Uchiyama, 27th ASGCT, 2024/5/7-11, 海外, ポスター
1 142	Glycosylation analysis of recombinant adeno-associated virus serotype 6, Yuki Yamaguchi, Kentaro Ishii, Sachiko Koizumi, Hiroaki Sakau, Takahiro Maruno, Mitsuko Fukuhara, Risa Shibuya, Yasuo Tsunaka, Aoba Matsushita, Karin Bandoh, Tetsuo Torisu, Chie Murata-Kishimoto, Azusa Tomioka, Saho Mizukado, Hiroyuki Kaji, Yuji Kashiwakura, Tsukasa Ohmori, Atsushi Kuno, and Susumu Uchiyama, 27th ASGCT, 2024/5/7-11, 海外, ポスター
1 143	Short-term and large-scale production of high-quality recombinant adeno-associated virus using a zonal ultracentrifugation, Mikako Wada, 27th ASGCT, 2024/5/7-11, 海外, 口頭
1 144	新規陰イオン交換担体によるAAVの分離事例・分取事例, DEVELOPMENT OF A NOVEL ANION-EXCHANGE MEDIUM THAT ENABLES RAPID AND LARGE-SCALE PURIFICATION OF NEW DRUG MODALITIES, 株式会社ウイテム, 高橋良輔, PREP2024, Philadelphia, PA, United States 2024/5/30, 海外, ポスター
1 145	A combination of lectin-based fractionation and LC-MS/MS for glycosylation analysis of recombinant adeno-associated virus, Yuki Yamaguchi, Kentaro Ishii, Sachiko Koizumi, Hiroaki Sakau, Takahiro Maruno, Mitsuko Fukuhara, Risa Shibuya, Yasuo Tsunaka, Aoba Matsushita, Karin Bandoh, Tetsuo Torisu, Chie Murata-Kishimoto, Azusa Tomioka, Saho Mizukado, Hiroyuki Kaji, Yuji Kashiwakura, Tsukasa Ohmori, Atsushi Kuno, and Susumu Uchiyama, 72th ASMS2024, 2024/6/2~6, 海外, ポスター
1 146	Comparison of the Empty/Full ratio assessment by Direct Mass Technology, Analytical Ultracentrifugation and Mass Photometry for AAV vectors, Ryoji Nakatsuka, Yuki Yamaguchi, Aisu Tatsuya, Kiichi Hirohata, Saki Shimojo, Yasuo Tsunaka, Mitsuko Fukuhara, Tetsuo Torisu, Susumu Uchiyama, ASMS 2024, 2024/6/2~6
1 147	Higher-order structural analysis of adeno-associated virus by hydrogen/deuterium exchange mass spectrometry, 池田智彦, 第24回 日本蛋白質科学会, 2024/6/12
1 148	Relationship between genome release and capsid structural change of adeno-associated virus, 山口祐希, 第24回 日本蛋白質科学会 Refeynランチョンセミナー, 2024/06/12
1 149	Charge Detection Mass Spectrometry (CD-MS) によるアデノ随伴ウイルスベクターの質量分布解析, 内山進, 第24回 日本蛋白質科学会ウォーターランチョンセミナー, 2024/6/13
1 150	Relationship between genome release and capsid structural change of adeno-associated virus, Saki Shimojo, Tomohiko Ikeda, ROCAFORT Mark Allen Vergara, Yasuo Tsunaka, Mitsuko Fukuhara, Tetsuo Torisu, Susumu Uchiyama, 2024/06/14-15, 2024 Joint Conference - Korean Society for Protein Science (KSPS) & Protein Science Society of Japan (PSSJ), 2024/06/15,
1 151	Yuki Yamaguchi, Kentaro Ishii, Sachiko Koizumi, Hiroaki Sakau, Takahiro Maruno, Mitsuko Fukuhara, Risa Shibuya, Yasuo Tsunaka, Aoba Matsushita, Karin Bandoh, Tetsuo Torisu, Chie Murata-Kishimoto, Azusa Tomioka, Saho Mizukado, Hiroyuki Kaji, Yuji Kashiwakura, Tsukasa Ohmori, Atsushi Kuno, and Susumu Uchiyama, Glycosylation analysis of recombinant adeno-associated virus serotype 6, 2024 Joint Conference - Korean Society for Protein Science (KSPS) & Protein Science Society of Japan (PSSJ) 2024, 2024/06/15, 国内, 口頭
1 152	Structural Assessment of Adeno-Associated Virus Serotype 8 by Hydrogen/Deuterium Mass Spectrometry, 池田智彦, 2024 Joint Conference - Korean Society for Protein Science (KSPS) & Protein Science Society of Japan (PSSJ), 2024/06/15, 国内, 口頭
1 153	Novel human cell lines, HAT, for high-yield AAV production. Yu-Hsin Chang, ESACT2024, 2024/6/23-26, 海外, ポスター

(学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表)

課題番号	内容
1 154	Glycosylation analysis of recombinant adeno-associated virus serotype 6. Atsushi Kuno, Yuki Yamaguchi, Kentaro Ishii, Sachiko Koizumi, Hiroaki Sakae, Takahiro Maruno, Mitsuko Fukuhara, Risa Shibuya, Yasuo Tsunaka, Aoba Matsushita, Karin Bandoh, Tetsuo Torisu, Chie Murata-Kishimoto, Azusa Tomioka, Saho Mizukado, Sayaka Fuseya, Hiroyuki Kaji, Yuji Kashiwakura, Tsukasa Ohmori, and Susumu Uchiyama, JProS2024, 2024/6/26-28, 国内, ポスター
1 155	分析用陰イオン交換カラムおよび新規陰イオン交換担体によるAAVの分離事例・分取事例の展示発表,第8回 バイオ医薬 EXPO, 株式会社ワイエムシー, 2024/6/26-28, 国内, 口頭
1 156	創薬から製造までを見据えたウイルスベクターの分析と品質管理, 内山 進, 第30回日本遺伝子細胞治療学会学術集会教育プログラム2024, 2024/7/15, 国内, 口頭
1 157	アデノ随伴ウイルスベクターのウイルスタンパク質の化学量論と遺伝子導入効率との関係, 丸野孝浩, 福原 充子, 津中 康夫, 松下 青葉, 廣畑 貴一, 板東 香林, 尾中 萌, 渋谷 理沙, 山口 祐希, 永島良樹, 肥後大輔, 桑原 寿江, 上野 智子, 前田将治, 金井 (白) 貴啓, 山野-足立 範子, 鳥巢 哲生, 大政 健史, 内山 進, 第30回 日本遺伝子細胞治療学会年会, 2024/07/16-18, 国内, ポスター
1 158	空粒子が少ないAAVベクターの製造方法の開発, 福原充子, 津中 康夫, 松下 青葉, 尾中 萌, 丸野孝浩, 内山 進, 第30回 日本遺伝子細胞治療学会年会, 2024/07/16-18, 国内, ポスター
1 159	アデノ随伴ウイルスベクターの不溶性微粒子評価のための標準粒子候補の開発, 栗之丸 隆章, 武田公利, 尾中萌, 車 裕輝, 高畑圭二, 高橋かよ, 桜井博, 佐々木章, 野田尚宏, 本田真也, 渋谷理紗, 池田智彦, 岡田梨櫻, 鳥巢哲生, 内山 進, 第30回 日本遺伝子細胞治療学会年会, 2024/07/16-18, 国内, 口頭
1 160	Novel human amnion-derived cell lines, HAT, for high-yield AAV production. 張育欣, 平井悠吾, 相澤和子, 山本安里沙, 朝比奈瞭, 諸見里怜奈, 窪田みち, 中村和昭, 堀内貴之, JSGCT2024, 2024/07/16-18, 国内, 口頭
1 161	遺伝子治療用製品製造に向けた大規模超遠心による組換えアデノ随伴ウイルス完全体分離法の開発, 和田 美加子, 第30回日本遺伝子細胞治療学会, 2024/7/17, 国内, 口頭
1 162	Establishment of equilibrium density gradient analytical ultracentrifugation for the analysis of AAV. Kiichi Hirohata, Takahiro Maruno, Susumu Uchiyama, 2024/7/22-27, 26th International Conference on Analytical Ultracentrifugation, Kloster Banz, Bad Staffelstein, Germany, 海外, 口頭
1 163	完全粒子率の高いアデノ随伴ウイルスベクターの製造条件の検討, 松下 青葉, 福原充子, 津中 康夫, 尾中 萌, 丸野孝浩, 内山 進, 第37回 日本動物細胞工学会2024年度大会, 2024/07/23-24, 国内, ポスター
1 164	AAVベクター製造用新規ヒト細胞株 (HAT細胞) の開発, 朝比奈瞭, 平井悠吾, 張育欣, 相澤和子, 山本安里沙, 諸見里怜奈, 窪田みち, 中村和昭, 堀内貴之, 第37回 日本動物細胞工学会2024年度大会, 2024/7/23-24, 国内, ポスター
1 165	Combined 100 keV cryo-electron microscopy and image analysis methods to characterize the wider adeno-associated viral products, Haruka Nishiumi, Kiichi Hirohara, Mitsuko Fukuhara, Aoba Matsushita, Mark Allen Rocafort, Yasuo Tsunaka, Takahiro Maruno, Tetsuo Torisu, Susumu Uchiyama, 2024 Colorado Protein Stability Conference, 2024/8/5-8, 海外, ポスター
1 166	大孔径アニオン交換担体によるアデノ随伴ウイルス(AAV)の完全粒子と空粒子の分離, 戸羽純也, 化学工学会第55回秋季大会, 2024/9/11, 国内, 口頭
1 167	遺伝子治療用AAVベクターの製造プロセス, 杉本晃規, 蝶野英人, 化学工学会第55回秋季大会2024/9/11, 国内, 口頭
1 168	Separation of full and empty AAV capsids by AEX chromatography media with large pores, Junya Toba, BioProcess International, 2024/9/24-26, 海外, ポスター
1 169	Comparative glycan analysis of 6 rAAV serotypes using multimodal glycan omics technologies, Atsushi Kuno, Yuki Yamaguchi, Kentaro Ishii, Sachiko Koizumi, Hiroaki Sakae, Takahiro Maruno, Mitsuko Fukuhara, Risa Shibuya, Yasuo Tsunaka, Aoba Matsushita, Karin Bandoh, Tetsuo Torisu, Chie Murata-Kishimoto, Azusa Tomioka, Saho Mizukado, Sayaka Fuseya, Hiroyuki Kaji, Yuji Kashiwakura, Tsukasa Ohmori, and Susumu Uchiyama, HUPO2024, 2024/10/20, 国内, ポスター
2-1 1	Application of Stealth RNA Vector to Genome Editing,第25回日本遺伝子治療学会学術集会シンポジウム、中西真人・飯島美、2019/7/23、国内、口頭、招待講演
2-1 2	センダイウイルスベクターを用いた: Septaplerin reductase 遺伝子導入における酵素活性測定による発現解析, 第33回 日本ペリリン研究会、岡本 駿吾, 濱崎 考史, 新宅 治夫, 吉田 尚美, 水田 志織, 中西 真人、2019/11/2、国内、口頭
2-1 3	Non-invasive imaging of diseases in living mice, 8th Japan-Sino-Korea mouse resource workshop, Yoshihiro Miwa. 2019/9/10. 国内、口頭、招待講演
2-1 4	Efficient and Secure Cell Reprogramming with Stealth RNA Vector. 第43会日本分子生物学会年会、Mahito Nakanishi. 2020/12/4、国内、口頭、招待講演
2-1 5	ステルス型RNAベクターの開発, 第73回日本生物工学会・シンポジウム、中西真人、2021/10/27、国内、口頭、招待講演
2-1 6	ステルス型RNAベクターの開発と遺伝子治療・再生医療への応用, 第20回遺伝子・テラリー研究会・シンポジウム、中西真人、2021/12/4、国内、口頭、招待講演
2-1 7	Expression of therapeutic iduronate-2-sulfatase enzyme with a novel single-stranded RNA vector14 International congress of metabolism , (ICIEM2021), Mashima R, Ohira M, Kikuchi E, Mizuta S, Yoshida N, Onodera M, Nakanishi M, Okuyama T, 2021/11/23. 海外、ポスター
2-1 8	Development and Application of Stealth RNA Vector. 第70回日本ウイルス学会シンポジウム、Mahito Nakanishi. 2023/9/27. 国内、口頭、招待講演
2-1 9	The first Japanese case of DNAJC12-deficiency: novel mutations and 18 years of follow-up for mHPA第64回日本先天代謝異常学会Erika Ogawa, Chika Takano, Natsuko Ichinoi, Mika Ishige, Takashi Hamazaki, Hideo Sasai, Ichiro Morioka. 2023/10/6. 国内、口頭

(学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表)

課題番号	内容
2-1 10	ムコ多糖症II型の新しい疾患マウスモデル第64回日本先天代謝異常学会学術集会真嶋隆一、大平麻里、奥山虎之、小野寺雅史、高田修治、2023/10/5、国内、口頭
2-2 1	バイオ医薬品と遺伝子治療ウイルスベクターの分析・品質管理と規制科学 遺伝子治療の開発動向と課題、岡田尚巳、蛋白質科学会ワークショップ、2021/6/17、国内
2-2 2	AAVベクター-基盤技術の開発とDDSへの応用「骨格筋指向性のあるベクター付加モルフォリ核酸DDS技術の臨床応用に向けた開発研究」、岡田尚巳、日本核酸医薬学会第6回年会、2021/6/28、国内
2-2 3	遺伝子・細胞治療におけるウイルスベクターの製造技術/品質管理と安全性・品質評価、岡田尚巳、サイエンス&テクノロジー「ウイルスベクター製造技術・品質評価」セミナー、2021/7/27、国内
2-2 4	遺伝子細胞治療ベクター技術の進化と今後の可能性岡田尚巳遺伝子細胞治療の最新情報と新規モデルについてのパネルディスカッション BioJapan主催者セミナー：創薬モデルの進化、パンフレット横浜、2021/10/15、国内
2-2 5	ウイルスベクター技術駆使した遺伝子治療の最新トレンド岡田尚巳第34回AMTEF(Asahi Kasei Medical Marketing and Technology Forum)、特別講演、2021/10/22、国内
2-2 6	ウイルスベクターの製造技術/品質評価岡田尚巳ウイルスベクターの製造技術、品質評価とスケールアップ 技術情報協会44526国内
2-2 7	遺伝子・細胞治療の現状と課題、岡田尚巳、神戸医療産産都市推進機構 再生医療産産化フォーラム、日本橋ライフサイエンスビル、2021/11/26、国内
2-2 8	遺伝子治療におけるウイルスベクターの製造技術および品質管理、岡田尚巳、R&D支援センター、2022/2/24、国内
2-2 9	AAVベクターを用いた遺伝子治療の現状と課題、岡田尚巳、遺伝子治療が抱える課題と新展開〜ウイルスベクターから非ウイルスベクター、mRNAの活用まで、日経バイオテクセミナー、2022/3/14、国内
2-2 10	臨床研究コーディネーターをスタディマネージャーとする取組について、長村文孝、革新的医療技術創出拠点・成果報告会、2022/2/22、国内
2-3 1	非ウイルスCAR-T細胞のアカデミア創薬と事業化を目指したコンソーシアムの構築 口頭、中沢洋三、第30回日本遺伝子細胞治療学会、2024/7/16、国内
2-3 2	What's next in CAR T cell therapy?: development of non-viral CAR-T cells. Foresight of Non-Viral CAR-T Cell Therapy. 口頭、Yoza Nakazawa、台湾經濟部BPIPO、2024/5/21、国外
2-3 3	非ウイルスCAR-T細胞の開発と今後の展開 口頭、中沢洋三、第23回日本再生医療学会、2024/3/22、国内
2-3 4	骨髄系腫瘍に対するCAR-T細胞療法の現状と課題 口頭、中沢洋三、第61回日本癌治療学会、2023/10/19、国内
2-3 5	AMLに対する免疫細胞療法 口頭、中沢洋三、第85回日本血液学会、2023/10/13、国内
2-3 6	急性骨髄性白血病に対するCAR-T療法 口頭、中沢洋三、第65回日本小児血液・がん学会、2023/9/29、国内
2-3 7	CAR-T細胞のアカデミア創薬の現状と課題 口頭、中沢洋三、第29回日本遺伝子細胞治療学会、2023/9/11、国内
2-3 8	日本発の遺伝子・細胞治療の実用化を促進するための霊長類モデルを用いた安全性評価系の基盤整備 口頭、中沢洋三、安全性評価研究会第28回冬のセミナー、2023/1/28、国内
2-3 9	日本発の遺伝子・細胞治療の実用化を促進するための霊長類モデルを用いた安全性評価系の基盤整備 口頭、中沢洋三、第7回DIA再生医療製品-遺伝子治療用製品シンポジウム、2022/12/16、国内
2-3 10	日本発の遺伝子・細胞治療の実用化を促進するための霊長類モデルを用いた安全性評価系の基盤整備 口頭、中沢洋三、第49回日本毒理学学会学術年会、2022/6/30、国内
2-4 1	AAV vectors for CNS and liver gene therapy. 口頭、Muramatsu S.、22nd US-Japan Cellular and Gene Therapy Conference、2019/3/7、国外
2-4 2	ゲノム編集治療の現状と課題、口頭、花園 豊、第30回日本医学会総会2019中部、2019/4/28、国内
2-4 3	Basic and clinical studies of CAR-T cell therapy in Japan. 口頭、Ozawa K.、The 12th World Congress of International Society for Apheresis (ISFA2019)、2019/10/18、国内
2-4 4	Prevalence of NAb against AAV8 in micromini pigs. ポスター、R Watano, K Ohba, Y Sehara, Y Saga, Urabe M, Mizukami H.、The 27th Annual Congress of European Society of Gene and Cell Therapy、2019/10/23、国外
2-4 5	The In-house Manufacturing Process of CD19 CAR-T for r/r non-Hodgkin lymphoma - Experience of a Single Center. ポスター、Ohmine K.、Uchibori R.、Ozawa K.、他26名、EHA-EBMT 2nd European CAR T Cell meeting.、2020/1/30、国外

課題番号	内容
2-4 6	Gene therapy for Glucose Transporter Type-1 (GLUT-1) deficiency. 口頭. Osaka H., Nakamura S., Kojima K., Miyauchi A., Kurokawa Y., Nakajima T., Mizukami H., Muramatsu S., Yamagata T., Gene & Cell Therapy Symposium2020. 2020/2/22. 国内
2-4 7	Single-cell transcriptome analysis of CAR T-cell infusion products for a Clinical Trial - Experience of a Single Center. 口頭. Ohmine K., 第83回日本血液学会学術総会. 2021/9/23. 国内
2-4 8	遺伝性血液疾患に対する遺伝子治療・ゲノム編集治療. 口頭. 大森 司. 第22回日本再生医療学会総会. 京都. 2023/3/25. 国内
2-4 9	我が国の遺伝子治療関連規制. 口頭. 久米啓啓. 第65回日本小児神経学会学術集会. 2023/5/26. 国内
2-4 10	Improvement of a neutralizing antibody assay for diverse AAV serotypes. ポスター. Watano R., Ohba K., Sehara Y., Saga Y., Urabe M., Mizukami H., 30th Annual Congress, European Society of Gene & Cell Therapy. 2023/10/24-27. 国外
2-5 1	Clinical development of oncolytic herpes virus G47Δ for glioblastoma. (Oral). 藤堂 具紀. 22nd International conference on Brain Tumor Research and Therapy. Solstrand Hotel & Bad (Bergen, Norway). June 24-27, 2018. 国外
2-5 2	Phase II clinical trial of oncolytic herpes virus G47Δ in patients with glioblastoma. (Oral). 藤堂 具紀. 11th AACR (American Association for Cancer Research)-JCA (Japanese Cancer Association) Joint Conference. Westin Maui Resort & Spa, Ka'anapali (Maui, HI, U.S.A.). 2019/2/12. 国外
2-5 3	Clinical development of oncolytic herpes virus G47Δ. (Oral). 藤堂 具紀. The 12th International Oncolytic Virotherapy Conference. Mayo Civic Center (Rochester, MN, U.S.A.). October 8th, 2019. 国外
2-5 4	Results of phase II clinical trial of oncolytic herpes virus G47Δ in patients with glioblastoma. (Oral). 藤堂 具紀. Society for Neuro Oncology 24th Annual Meeting, JW Marriott Desert Ridge (Phoenix, Arizona, U.S.A.). 2019/11/24. 国外
2-5 5	Development and approval of oncolytic herpes virus G47Δ for malignant glioma in Japan. (Oral). 藤堂 具紀. the European Society for Gene and Cell Therapy 2021 Virtual Congress (オンライン). 2021/10/22. 国外
2-5 6	Clinical development and approval of oncolytic herpes virus G47Δ. (Oral). 藤堂 具紀. 13th International Oncolytic Virotherapy Conference Meeting (オンライン). 2021/11/5-7. 国外
2-5 7	Clinical development of oncolytic herpes virus in Japan. (Oral). 藤堂 具紀. 14th International Oncolytic Virotherapy Conference (長野県軽井沢町). 2022/10/23-26. 国内
2-5 8	Development and Approval of Oncolytic Herpes Virus G47Δ Malignant Glioma in Japan. (Oral). 藤堂 具紀. International Conference on Brain Tumor Research and Therapy 2023 (アメリカ・キアウ島). 2023/3/26-29. 国外
2-5 9	Oncologic Viral Therapy. (口頭). 藤堂 具紀. 2023 ASCO Breakthrough Meeting (神奈川県横浜市). 2023/8/3-5. 国内
2-5 10	Development and approval of oncolytic herpes virus G47Δ for malignant glioma in Japan. (Oral). 藤堂 具紀. the 30th Annual Meeting of the European Society of Gene and Cell Therapy (ベルギー・ブリュッセル). 2023/10/24-27. 国外
2-5 11	Novel microRNA engineered oncolytic virotherapy for clinical trial. ポスター. Jia Y., Miyamoto S., Hirose L., Sagara M., Takishima Y., Shimizu H., Tani K., American Society of Gene and Cell Therapy 21st Annual Meeting. 2018/5/16-19. 国外
2-5 12	Dual microRNA Engineered Oncolytic Coxsackievirus Virotherapy for Clinical Trial. ポスター. Miyamoto S, Jia Y, Soda Y, Sagara M, Liao J, Hirose L, Hijikata Y, Hara K, Iwanaga A, Tani K., American Society of Gene and Cell Therapy 22nd Annual Meeting. 43584. 国外
2-5 13	Development of gene modified oncolytic coxsackievirus for clinical trial. ポスター. Ito S, Miyamoto S, Sagara M, Sakamoto A, Soda Y, Akiyama T, Tani K. 第27回日本遺伝子細胞治療学会学術集会. 2021/09/09-10. 国内
2-5 14	A novel Echovirus 4 shows remarkable oncolytic capacity against esophageal cancer. Sakamoto A, Inoue H, Miyamoto S, Sagara M, Ito S, Soda Y, Akiyama T, Tani K. 第80回日本癌学会学術総会. 2021/09/30-10/02. 国内
2-5 15	Development and manufacturing of miRNA-regulated oncolytic virus for clinical trial. ポスター. Ito S, Miyamoto S, Sagara M, Sakamoto A, Soda Y, Akiyama T, Tani K. 第80回日本癌学会学術総会. 2021/09/30-10/02. 国内
2-5 16	Non-clinical study of the second-generation miRNA-targeted oncolytic coxsackievirus B3. 口頭. Miyamoto S, Sagara M, Ito S, Sakamoto A, Soda Y, Tani K. 第28回日本遺伝子細胞治療学会学術集会. 2022/7/14-16. 国内
2-5 17	Preclinical studies of a second-generation recombinant coxsackievirus B3. ポスター. Sagara M, Miyamoto S, Ito S, Sakamoto A, Soda Y, Akiyama T, Tani K. 第81回日本癌学会学術総会. 2022/9/29-10/1. 国内
2-5 18	Preclinical studies of a second-generation miRNA-targeted coxsackievirus B3. ポスター. Miyamoto S, Sagara M, Ito S, Sakamoto A, Soda Y, Tani K. 14th International Oncolytic Virotherapy Conference. 2022/10/23-26. 国内
2-5 19	Combination therapy of immunostimulatory CVB3 and PD-L1 blockade works to enhance anti-cancer efficacy. 口頭. Miyamoto S, Sagara M, Ito S, Soda Y, Akiyama T, Murahashi M, Tani K. 第29回日本遺伝子細胞治療学会学術集会. 2023/9/11-13. 国内
2-5 20	Combination therapy of immunostimulatory oncolytic coxsackievirus B3 and PD-L1 blockade works synergistically to enhance anti-cancer efficacy. 口頭. Miyamoto S, Sagara M, Ito S, Sakamoto A, Soda Y, Akiyama T, Murahashi M, Tani K. 第82回日本癌学会学術総会. 2023/9/21-23. 国内

課題番号	内容
2-5 21	がん治療：次の波はウイルス療法か. 口頭. 福原 浩. 横浜 (第56回日本癌治療学会学術集会) . 2018/10/18. 国内
2-5 22	Oncolytic virus therapy in patients with castration resistant prostate cancer. 口頭. 福原 浩. 仙台 (5th Taiwan-Japan Academic Research Organization Workshop) . 2019/9/26. 国内
2-5 23	Oncolytic virus therapy in patients with castration resistant prostate cancer. 口頭. 福原 浩. 中国. 成都 (成都市人民政府『2019中日先進医療と新薬研究開発サミットフォーラムおよび成果転化大会』China-Japan biotherapy frontier summit) . 2019/11/10. 海外
2-5 24	泌尿器がんの薬物療法 最新の治療オプション. 口頭. 福原 浩. 京都 (第58回日本癌治療学会学術集会) . 2020/10/23. 国内
2-5 25	前立腺癌 ホルモン療法と手術. そしてウイルス療法. 口頭. 福原 浩. 金沢 (第70回日本泌尿器科学会中部総会) . 2020/11/12. 国内
2-5 26	Phase 1 clinical trial of a third-generation oncolytic HSV-1, G47Δ in patients with castration-resistant cancer. 口頭. 福原 浩. 東京 (第27回日本遺伝子治療学会学術集会) . 2021/9/10. 国内
2-5 27	がんのウイルス療法 前立腺癌での経験 Oncolytic virus therapy for prostate cancer. 口頭. 福原 浩. 横浜 (第81回日本癌学会学術集会) . 2022/9/30. 国内
2-5 28	Phase 1 clinical trial of G47Δ in patients with castration-resistant prostate cancer. 口頭. 福原 浩. 軽井沢 (14th International Oncolytic Virotherapy Conference) . 2022/10/25. 国内
2-5 29	前立腺癌治療 ロボット手術から がんウイルス療法まで. 口頭. 福原 浩. 東京 (世田谷区医師会. 2023/2/2. 国内
2-5 30	Oncolytic virus therapy using G47Δ for patients with prostate cancer. 口頭. 福原 浩. 東京 (第1回日本ウイルス療法学会学術集会) . 2023/11/3. 国内
2-5 31	Tumor-specific replication-competent oncolytic vaccinia virus with stealth effect by engineering viral glycoprotein B5R. 口頭発表. Nakatake M, Kurosaki H, Nakamura T., The 12th International Oncolytic Virotherapy Conference. 2019/10/10. 国外
2-5 32	Next-generation oncolytic vaccinia virus for cancer virotherapy. 口頭発表. Nakamura T., Asia Pacific Consortium of Gene and Cell Therapy. 2019. 2019/11/7. 国外
2-5 33	Fusogenic oncolytic vaccinia virus changes the tumor immune microenvironment by cell fusion and enhances systemic anti-tumor immunity. 口頭発表. Nakatake M, Kuwano N, Kaitsurumaru E, Kurosaki H, Nakamura T., 23th Annual Meeting of American Society of Gene & Cell Therapy. 2020/5/15. 国外
2-5 34	Fusogenic oncolytic vaccinia virus enhances systemic antitumor immune response by modulating the tumor microenvironment. オンデマンド. Nakamura T., 第79回日本癌学会. 2020/10/16-31. 国内
2-5 35	Novel Poxvirus Vectors. 口頭発表. Nakamura T., 24th Annual Meeting of American Society of Gene & Cell Therapy. 2021/5/12. 国外
2-5 36	Fusogenic oncolytic vaccinia virus enhances systemic antitumor immune response and sensitivity to immune checkpoint blockade by remodeling the tumor microenvironment. 口頭発表. Nakatake M, Kuwano N, Kaitsurumaru E, Kurosaki H, Nakamura T., 第27回日本遺伝子細胞治療学会. 2021/9/10. 国内
2-5 37	Fusogenic oncolytic vaccinia virus enhances systemic antitumor immune response by modulating the tumor microenvironment. 口頭発表. Nakamura T., 第28回日本遺伝子細胞治療学会. 2022/7/16. 国内
2-5 38	Next generation oncolytic vaccinia virus: From Bench to Bedside. 口頭発表. Nakamura T., 第81回日本癌学会. 2022/10/1. 国内
2-5 39	Next-generation oncolytic vaccinia viral platform. 口頭発表. Nakamura T., 14th International Oncolytic Virotherapy Conference. 2022/10/24. 国内
2-5 40	Next-generation vaccinia viral platform for oncolytic virotherapy. 口頭発表. Nakamura T., 第1回日本ウイルス療法学会学術集会. 2023/11/3. 国内