

「遺伝子・細胞治療用ヒト羊膜上皮由来細胞株（HAT 細胞株）の樹立」

次世代バイオ医薬品製造技術研究組合（以下、MAB 組合）では、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下、AMED）が 2018 年度から実施した「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（遺伝子治療製造技術開発）」（2024 年 3 月終了）及び 2024 年度から開始された「同（遺伝子治療開発加速化研究事業）」に参画し、それぞれ研究開発課題「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開発」及び「ウイルスベクター製造技術の統合開発」のテーマで、遺伝子・細胞治療用ベクター製造のために必要な新規細胞開発、製造技術開発及び分析技術開発に取り組んできました ※1。

この度、その成果の一環として、MAB 組合、株式会社ちとせ研究所及び国立研究開発法人国立成育医療研究センターが共同で開発に取り組んできた国産の遺伝子・細胞治療用ヒト羊膜上皮由来細胞株（Human Amniotic epithelial cell line for gene & cell Therapy：以下、HAT 細胞）の開発成果が、遺伝子治療分野で高い影響力を持つ国際学術誌（Molecular Therapy Methods & Clinical Development）に掲載され、その科学的妥当性が国際的に評価されました ※2。

今回新たに樹立された HAT 細胞の特徴として、遺伝子治療用ウイルスベクターの高生産性、生産されたベクターの品質向上、生産におけるスケラビリティ、トレーサビリティが明確であることなどが挙げられます。例えば、HAT 細胞を用いることで、遺伝子治療に汎用されるアデノ随伴ウイルス（Adeno Associated Virus）ベクターを高効率・高収量で、かつ不純物が少ない状態で生産できることから、生産における堅牢性や低コスト化に繋がることが期待されます。

これからも HAT 細胞を用いた研究開発を推進することで、遺伝子治療の発展に貢献していきます。

※1 本成果は AMED から以下の支援を受けています

研究開発課題名：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開発
(JP18ae0201001)

研究開発課題名：ウイルスベクター製造技術の統合開発 (JP24se0123004)

※2 Establishment of a novel human amniotic epithelial-derived cell line, HAT, for high-yield AAV vector production, Hirai, Yugo et al. *Molecular Therapy Methods & Clinical Development*, Volume 33, Issue 4, 101594, December 11, 2025,
<https://doi.org/10.1016/j.omtm.2025.101594>.

【本事業の概要】

事業名	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 (遺伝子治療製造技術開発)
研究開発課題名	遺伝子・細胞治療用ベクター新規大量製造技術開発
代表機関	次世代バイオ医薬品製造技術研究組合／国立大学法人大阪大学／ 国立医薬品食品衛生研究所
統括プロジェクト リーダー	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）
研究期間	2018年10月15日～2024年3月31日

事業名	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 (遺伝子治療開発加速化研究事業)
研究開発課題名	ウイルスベクター製造技術の統合開発
代表機関	次世代バイオ医薬品製造技術研究組合／国立大学法人大阪大学／ 国立医薬品食品衛生研究所
統括プロジェクト リーダー	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）
研究期間	2024年8月29日～2029年3月31日（予定）

この件に関するお問い合わせ先
次世代バイオ医薬品製造技術研究組合
事務局
Tel : 03-3553-5106
E-mail : jimmu@cho-mab.or.jp