

「国産 HAT 細胞による AAV 製造プラットフォームの確立」

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。

その成果の一環として、MAB 組合、ちとせ研究所及び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）の確立に関して、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）に論文が掲載され、その科学的妥当性が国際的に評価されたことをすでに公表しています ※2。

今回、大阪大学大学院工学研究科の津中康央特任准教授、内山進教授らの研究グループは、ちとせ研究所、ユー・メディコ、自治医科大学、群馬大学、産業技術総合研究所、成育医療研究センター及び MAB 組合との共同研究で、HAT 細胞を用いて製造された遺伝子治療用ウイルスベクター（アデノ随伴ウイルスベクター：AAV）が高品質で、かつ高生産性であることを世界で初めて明らかにすると共に、HAT 細胞による AAV 製造プラットフォームを確立したことを、米国科学誌「Molecular Therapy Advances」において報告しました ※3。

本研究成果により、遺伝子治療薬の製造工程の効率化やコスト低減、さらには高品質な遺伝子治療薬の安定供給が可能となり、臨床開発および実用化の加速が期待されます。

※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 当組合ホームページにて公表済み。

<https://cho-mab.or.jp/news/detail.php?id=930>

※3 本研究成果は、2026 年 2 月 15 日に米国科学誌「Molecular Therapy Advances」（オンライン）に掲載されました。

Manufacture of adeno-associated virus vectors by a novel human-derived cell line HAT and comprehensive characterization of purified vectors. Yasuo Tsunaka, Mitsuko Fukuhara, Saki Shimojo, Aoba Matsushita, Takahiro Maruno, Sereirath Soth, Haruka Nishiumi, Mark Allen Vergara Rocafort, Toshie Kuwahara, Kenjiroo Matsumoto, Kosei Shibata, Ryoji Nakatsuka, Ryo Asahina, Saho Mizukado, Yuuki Fukai, Tomoki Togashi, Nemekhbayar Baatartsogt, Kimitoshi Takeda, Atsushi Kuno, Yuji Kashiwakura, Yuki Yamaguchi, Kazuaki Nakamura, Yugo Hirai, Hirokazu Hirai, Tsukasa Ohmori, Takeshi Omasa, and Susumu Uchiyama.
DOI : <https://doi.org/10.1016/j.omta.2026.201700>

【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