

Gene and Cell Therapy



巻頭言	1
第 31 回日本遺伝子細胞治療学会・学術集会開催に寄せて	2
東京大学医科学研究所 遺伝子・細胞治療センター 岡田 尚巳	
各賞受賞者紹介	3
【学会賞】	自治医科大学 医学部 生化学講座 病態生化学部門 富樫 朋貴
【JGM 賞】	東京慈恵会医科大学 総合医科学センター遺伝子治療研究部 松島 小貴
【アンジェス賞・最優秀賞】	鳥取大学医学部医学科 ゲノム再生医科学講座分子医学部門 中武 大夢
【アンジェス賞・優秀賞】	名古屋大学医学系研究科 医学教育学・癌免疫治療研究室 Patricia Angela Alvero Sibál
【タカラバイオ研究奨励賞】	大阪大学大学院 薬学研究科 分子生物学分野 清水 かほり
男女参画委員会企画（研究室の紹介）	9
信州大学医学部小児医学教室 田中 美幸	

〔巻頭言〕

教育・広報委員長の信州大学の中沢です。第 31 回日本遺伝子細胞治療学会学術集会（2025 年 7 月 22-25 日 ホテル雅叙園東京）も間近に迫り、皆さんにお会いすること、この一年の研究成果を拝聴することを楽しみにしています。

さて、今回の News Letter では、第 31 回学術集会の会長を務められる東京大学医科学研究所の岡田尚巳教授に、学術集会に向けた想いと準備状況をご寄稿いただきました。ぜひ多くの会員・参加者の力で、海外から波及した創薬研究者を取り巻く不安定かつ予測困難な状況を打破し、森下理事長、岡田会長のリーダーシップのもと日本の遺伝子細胞治療を盛り上げていきましょう。

他にも、第 30 回学術集会で学会賞、JGM 賞、アンジェス賞、タカラバイオ研究奨励賞を受賞された先生方に、受賞の喜びと研究内容をご寄稿いただきました。日本の遺伝子細胞治療領域に次々と新しい力が誕生していることは喜ばしい限りです。受賞者の記事に刺激を受けた次のスターが第 31 回学術集会で誕生することを楽しみにしています。

男女参画委員会の企画では、手前味噌ながら信州大学小児医学教室を紹介させていただきました。信州大学発ベンチャー A-SEEDS との連携などにご注目いただけると幸いです。

いざ雅叙園へ！

日本遺伝子細胞治療学会 教育・広報委員会 中沢 洋三

第31回日本遺伝子細胞治療学会・ 学術集会開催に寄せて

東京大学医科学研究所 遺伝子・細胞治療センター
岡田 尚巳



このたび、第31回日本遺伝子細胞治療学会（JSGCT2025）を、2025年7月23日から25日にかけて、東京・目黒の歴史あるホテル雅叙園東京にて開催させていただき運びとなりました。

今年のテーマは「国際貢献と新時代の夜明け -Great Expectations-」です。このテーマには、日本発の遺伝子・細胞治療の成果を世界に発信し、人類の健康課題に貢献するという私たちの強い願いを込めています。

近年、遺伝子・細胞治療の分野は、AAVやレンチウイルスベクターによる遺伝子導入技術の進展、ゲノム編集技術の臨床応用、がんウイルス療法、そして細胞

療法の高度化により、かつてない速度で発展しています。しかしその一方で、製造コスト、規制の整備、免疫応答制御など多くの課題も残されています。これらの課題解決には、産官学の連携だけでなく、国際的な連携構築と情報共有が欠かせません。

本学術集会では、ASGCT、ESGCTとの国際ジョイントシンポジウムをはじめ、世界各国から一流の研究者をお招きし、最先端の知見と技術を共有する場を設けています。また、若手研究者の登竜門となるよう、ポスターセッションやオープンなディスカッションの機会も充実させています。新たな時代を切り開くのは、次世代を担う若い力です。皆様には、未来の医療を担う若手研究者への積極的なご支援と交流をお願いしたいと存じます。

本学術集会が、日本から世界への発信力を高め、国際社会における我が国のプレゼンス向上に貢献する場となることを願ってやみません。参加されるすべての皆様にとって、実り多き学びと新たな連携の機会となることを心より祈念し、ご挨拶とさせていただきます。

国際貢献と Great expectations
新たな時代の幕開け

第31回
日本遺伝子細胞治療学会
学術集会
The 31st Annual Meeting of Japan Society of Gene and Cell Therapy

2025.7.23 | 水 | - 7.25 | 金 |
22日(火)は教育プログラムのみ

会場：ホテル雅叙園東京
〒153-0064 東京都目黒区下目黒1-8-1
大会長：岡田 尚巳
東京大学医科学研究所 教授

主催事務局：東京大学医科学研究所 遺伝子・細胞治療センター分子遺伝医学分野内
〒108-8639 東京都港区白金台4-6-1
運営事務局：株式会社ドゥ・コンベンション内
〒101-0063 東京都千代田区神田淡路町2-23, 5F TEL: 03-5289-7717 FAX: 03-5289-8117
Email: jsget2025-office@umin.ac.jp

大会HPは
こちら

【学会賞】

「学会賞を受賞して」

自治医科大学 医学部 生化学講座 病態生化学部門

富樫 朋貴



この度、第30回日本遺伝子細胞治療学会学術集会において、私たちの演題「単一AAVベクターによる肝臓を標的とした遺伝子ノックイン技術の最適化— Optimization of gene knock-in technology

targeting the liver by a single AAV vector」に栄誉ある学会賞を賜り、心より感謝申し上げます。

本研究では、先天的に血液凝固第IX因子 (FIX) が不足して出血を引き起こす血友病Bを対象に、ノックインゲノム編集治療の最適化を試みました。FIXは肝臓細胞で産生されるタンパク質であるため、肝臓を標的としたノックイン治療を行います。近年、成人の血友病Bに対するAAVベクターを用いた遺伝子治療薬が承認され、一度の治療で数年間にわたりFIXの発現が維持されています。しかし、AAVベクターは宿主ゲノムに組み込まれないため、肝臓の増殖が活発な小児は治療効果が得られず、遺伝子治療の対象になりません。そのため、小児期における出血の予防は今後向き合うべき課題と考えています。ノックイン治療は小児の血友病B患者においても治療効果を維持できるため、新しい治療の選択肢となります。しかし、ゲノム編集に用いるCas9は遺伝子サイズが大きく、従来のノックイン治療はゲノム編集ツールと治療遺伝子の2つを別々に用意する必要がありました。そこで、私たちは、

東京大学と京都府立医科大学との共同研究で、遺伝子サイズがSpCas9の3分の1未満であるAsCas12fを改変し、新規のゲノム編集ツールを生み出す研究を開始しました。Deep mutational scanningによる網羅的な変異体スクリーニングと構造解析による合理設計により、SpCas9と同等のゲノム編集活性をもつ改変型AsCas12fを開発しました。最小のゲノム編集ツールである改変型AsCas12fを利用することで、FIX cDNA ドナー配列とともに単一のAAVベクターに余裕をもって搭載できます。改変型AsCas12fはCas9では成し得ない単一AAVベクターによるノックイン治療を可能にしました。ゲノム編集の標的部位とFIXドナー配列のデザインを最適化し、血友病Bの新生仔および成マウスにおいて、治療域を超えるFIX活性の上昇が認められ、より効率的に治療効果を得られました。本ノックイン技術は血友病B以外のさまざまな難治性疾患にも応用でき、将来的なノックインゲノム編集治療の適応拡大に資する基盤技術になると信じています。さらに、今回の発表で、先生方より多くのご助言とご指摘をいただきましたので、さらにノックイン技術の最適化を進めて参ります。私は2024年度より日本遺伝子細胞治療学会に入会した新参加者ですが、遺伝子治療の限らない可能性と研究の面白さにすっかり魅了されてしまいました。これからは遺伝子治療研究をライフワークとして、日本遺伝子細胞治療学会のさらなる発展に貢献できるように精進いたします。

最後に、本研究を進めるにあたりご指導いただきました大森司先生、濡木理先生、星野温先生、柏倉裕志先生、早川盛禎先生、Nemekhbayar Baatartsogt先生、Khishigjargal Batjargal先生、共同研究先の先生方、自治医科大学医学部病態生化学部門のスタッフの皆様にご場をお借りして厚く御礼申し上げます。

【JCM 賞】

JGM 賞を受賞して

東京慈恵会医科大学
総合医科学研究センター 遺伝子治療研究部

松島 小貴



この度は、第 30 回日本遺伝子細胞治療学会総会にて発表させていただいた「血液脳関門通過型酵素によるライソゾーム病中枢神経症状の小容量 in vivo 遺伝子治療法の確立」に対して JGM 賞

をいただき、心より感謝申し上げます。私が 2020 年から慈恵医大の遺伝子治療研究部でお世話になる前より、慈恵医大の先生方が情熱をかけて取り組んできた血液脳関門通過型酵素を用いた遺伝子治療の研究に携わらせていただき、このような場で発表の機会を得ただけでなく、大変名誉ある賞をいただいたことを大変嬉しく思います。

ライソゾーム病 (LSD) は、ライソゾーム内の酸性分解酵素の遺伝的欠損によりライソゾーム内に糖脂質やグリコサミノグリカンなどが蓄積した結果、肝脾腫、骨変形、中枢神経障害などの症状を引き起こす疾患群です。現在は欠損酵素を補充する酵素補充療法や造血細胞移植がいくつかの LSD で施行されていますが、継続的な治療が生涯必要であること、酵素に対する

中和抗体が発生すること、補充した酵素が血液脳関門 (BBB) を通過しないため中枢神経症状には効果が期待できないなどの課題がありました。

近年、治療用酵素にトランスフェリン受容体 (TfR) に対する抗体を融合し、トランスサイトシスを利用して BBB を通過させる技術が開発されました。この技術を用いた、中枢神経症状に効果的な酵素補充療法薬が 2021 年に本邦で承認されました。TfR は脳血管内皮細胞に多く発現しているため血中から脳への効率的な取り込みが期待できますが、TfR は全身に発現しているため標的組織は脳だけではありません。そこで、私たちはその技術を遺伝子治療へ応用し、中枢神経を含む全身症状に対して取り込み効率を大幅に高めた治療酵素をアデノ随伴ウイルスベクターを用いて発現させる系を確立しました。本法は、LSD の中でも未だ有効な治療法のない GM1 ガングリオシドーシスに対し、モデルマウスを用いた検討で 1×10^{12} vector genome /kg という低容量の単回静脈投与で中枢神経の蓄積物質を正常化することに成功しました。今後は臨床応用に向けた検討を行っていきたいと考えています。

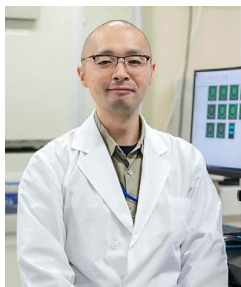
最後に、本研究を進めるにあたりご指導いただきました大橋十也先生、小林博司先生、共同研究者の先生方、遺伝子治療研究部の皆様、特に全ての研究を一緒にサポートして下さった飯塚佐代子さんに、この場をお借りして改めて深く感謝申し上げます。諸先生方には今後ともご指導ご鞭撻を賜りますよう、どうぞよろしくお願い申し上げます。

【アンジェス賞・最優秀賞】

「アンジェス若手研究奨励賞 最優秀賞」を受賞して

鳥取大学医学部医学科 ゲノム医療学分野

中武 大夢



この度は第30回日本遺伝子細胞治療学会学術集会におきまして、当方の「腫瘍溶解性ウイルスの細胞融合作用とHDAC阻害剤との併用療法とその知見に基づく新規アプローチの開拓」という研究課

題に対し、アンジェス若手研究奨励賞 最優秀賞を授与していただき誠にありがとうございました。ご選考いただいた関係者の皆様に深く御礼申し上げます。

私は研究室配属時から現在まで、鳥取大学医学部ゲノム医療学教室の中村 貴史 教授のもと、遺伝子治療の中でも癌治療領域の一翼を担う腫瘍溶解性ウイルス療法の研究に携わって参りました。腫瘍溶解性ウイルス療法はウイルスによる直接的な腫瘍溶解と、溶解した腫瘍への抗腫瘍免疫の誘導という2つの作用に基づく新たな癌治療戦略であり、米国で黒色腫瘍治療に承認済のT-VEC、国内で脳腫瘍治療に承認済のデリタクトを始め、多様な難治性癌への有効性が実証されています。本治療法では上記の作用により、投与局所のみでなく遠隔に位置する転移腫瘍に対しても効果を発揮します。一方で、ウイルスが直接到達できない遠隔腫瘍への治療効果は投与局所よりも制限されるという課題も有り、投与部位からより効率よく全身への効果を発揮できるウイルス薬の開発が求められています。

私はこれまでに天然痘のワクチン株であるワクシニアウイルスを用いた新規治療用ウイルスの開発を推し進めてきました。本受賞に関わる研究テーマの一つでは本来非融合型であるワクシニアウイルスから、感染細胞間に細胞融合を引き起こす新規ウイルス株 Fusogenic oncolytic vaccinia virus: FUVAC を取得しました (Nakatake M et al., Mol Ther., 2021)。FUVAC は左右腹部に腫瘍を皮下移植したマウスモデルにおいて、通常非融合型ウイルスと比べ、投与した腫瘍のみでなく非投与側の腫瘍の成長をも有意に抑制しました。FUVAC はその細胞融合形質により投与側腫瘍での腫瘍溶解作用と免疫抑制環境の改善を促し、さらに全身へのCD8+ T細胞の増強によって抗腫瘍免疫応答を高める効果を有しています。

その一方で、FUVAC による細胞融合が生じ難い癌細胞も存在していました。FUVAC の治療効果はその融合能に大きく依存するため、それらの癌細胞に対しては融合効率を高める戦略が必要となります。そこで本受賞に関わる二つ目の研究テーマにおいて、HDAC 阻害剤トリコスタチン A (TSA) の併用が FUVAC の細胞融合作用を高めることを報告しました (Nakatake M et al., Cancer Sci., 2024)。TSA は細胞構造に関わる遺伝子発現を変化させることで FUVAC の細胞融合効率を高め、その併用が上記マウスモデルにおいて FUVAC 単剤よりも高い全身性治療効果をもたらすことも実証しています。

今後は本受賞による研究助成を基に、TSA の作用する細胞融合関連因子の特定を進めつつ、FUVAC の臨床応用に向けた研究開発を進めることで、本学会及び遺伝子治療分野の発展に貢献していく所存です。最後になりますが、学生時代から長年に渡りご指導いただきました中村 貴史 教授、黒崎 創 講師、並びに研究室の皆様へ深く感謝申し上げます。

【アンジェス賞・優秀賞】

アンジェス若手研究奨励賞 優秀賞を頂いて

Graduate School of Medicine, Nagoya University
Sibal Patricia Angela Alvero



It has truly been a great honor to have been selected as the アンジェス若手研究奨励賞 優秀賞 for the research theme "腫瘍溶解性ウイルスと STING アゴニストの併用療法の開発". I began working

on this theme during my undergraduate years. I first joined the laboratory of Professor Hideki Kasuya at the Graduate School of Medicine, Nagoya University, as a second-year undergraduate student majoring in Biological Sciences, following the recommendation of Assistant Professor Itzel Bustos, a member of the laboratory.

We work with oncolytic viruses (OV), which specifically target cancer cells. In particular, we use C-REV, a naturally occurring variant of HSV-1, whose virulency is inherently attenuated enough not to harm normal cells. On the contrary, C-REV efficiently replicates in cancer cells due to their impaired anti-viral systems. C-REV lyse tumor cells, causing the release of tumor antigens that restimulate the already dysfunctional tumor immunity.

I worked closely with Dr. Shigeru Matsumura, an Assistant Professor, in this project. Initially, we evaluated how the STING pathway in tumor cells affects their susceptibility to C-REV infection. Although OV therapy has already yielded promising results, its efficacy depends on its replication efficiency in tumor cells. The STING-TBK1-IRF3-IFN pathway acts as the main cellular anti-viral system. Hence, we determined whether C-REV infection is only limited to pancreatic cancer cell lines having a highly defective STING pathway. Our results revealed that C-REV efficiently infects pancreatic cancer cells, regardless of their degree of STING pathway deficiency. This

indicates that C-REV treatment is applicable to a large variety of tumor cells, including those that are partially responsive to cGAMP (Morimoto et al., Cells, 2021).

After this, we explored the feasibility of combining STING agonists with C-REV to induce a wider systemic anti-tumor immune response. The cancer cell lines being unresponsive to 2'3'-cGAMP compared to dendritic cells (DC) indicates that 2'3'-cGAMP treatment would mainly affect DC, not tumor cells. I presented these initial findings in the 28th Annual Meeting of the JSGCT in an oral session entitled "STING Activator 2'3'-cGAMP Enhances the Anti-tumor Efficacy of C-REV, an HSV1-based Oncolytic Virus" back in 2022. This experience is truly memorable, as it was my first time giving an oral presentation at a conference.

Taking into great consideration the feedback I received from the scientists at the conference, I continued working on this project under the guidance of Dr. Matsumura. We refined the in vivo experiments, and our analysis revealed that the combination therapy increased the cross-presenting DCs and unexhausted CD8+ T cell populations, thereby inducing a more durable systemic anti-tumor immune response. I shared our final findings through an oral presentation entitled "Combination Therapy of HSV-1 based Oncolytic Virotherapy with STING activator 2'3'-cGAMP Synergistically Amplifies Systemic Anti-Tumor Immunity" in the 29th Annual Meeting of the JSGCT and published our results (Sibal et.al., Mol. Oncology, 2024). Overall, this paper demonstrated that the administration of 2'3'-cGAMP, an endogenous STING agonist, with C-REV does not inhibit C-REV tumoral replication. Instead, 2'3'-cGAMP activates the STING pathway in DCs selectively, leading to their activation and better anti-tumor immunity.

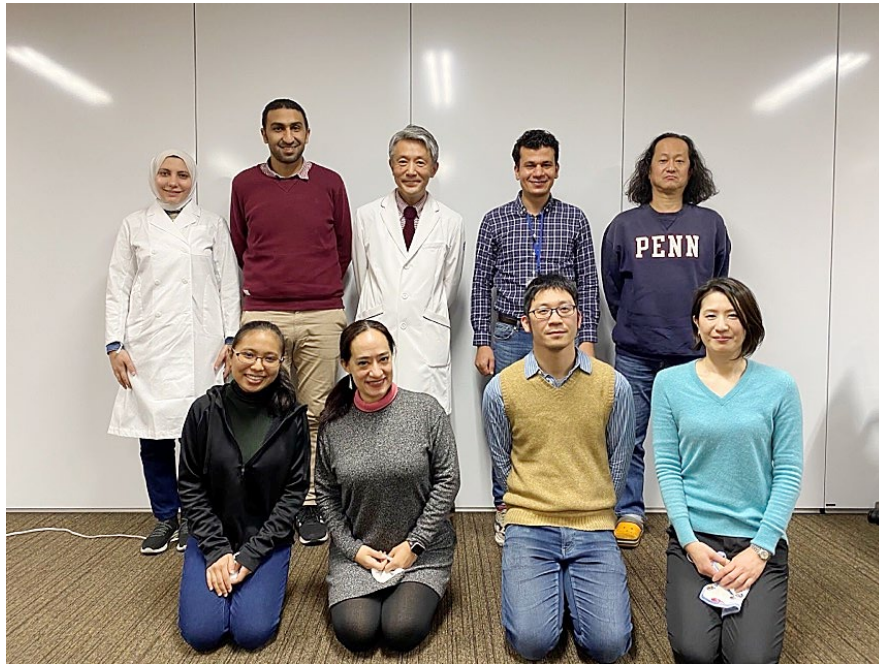
Currently, I am evaluating the combination therapy of STING agonists, which has a better half-life than 2'3'-cGAMP, and exploring the feasibility of administering this combination therapy systemically or orally to make it less burdensome for patients. Candidate STING agonists include MSA-2 and SR-

717, whose clinical safety and efficacy have been well-documented in numerous clinical trials.

I have grown significantly as a young scientist since arriving at Dr. Kasuya's laboratory. I am most grateful to Dr. Kasuya, Dr. Matsumura, and Dr. Bustos for teaching me skills crucial to pursuing my own research ideas. If it were not for the guidance of Dr. Kasuya and the mentoring of Dr. Matsumura, getting selected for

the AnGes Young Investigator Encouragement Award for Excellence would have been impossible. I am certain that the skills they have imparted to me will be instrumental in leading my own laboratory on cancer immunotherapy in the future. laboratory members

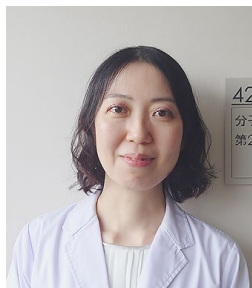
(front row from the left: me, Dr. Itzel, Dr. Matsumura; second row, center: Dr. Kasuya)



【タカラバイオ研究奨励賞】

「タカラバイオ研究奨励賞を受賞して」

大阪大学大学院 薬学研究科 分子生物学分野
清水 かほり



このたび、「肝臓における
リゾリン脂質アシル転移酵
素 10 の高発現による糖尿病
の新規遺伝子治療法の開発」
という研究題目におきまし
て、「タカラバイオ研究奨励
賞」を拝受いたしましたこ

と、大変光栄に存じます。日本遺伝子細胞治療学会
の関係者の先生方、タカラバイオ株式会社に厚く御
礼申し上げます。

糖尿病は、世界中で患者数が爆発的に増えている
疾患であり、糖尿病に対する遺伝子治療が実現すれ
ば、患者さんの QOL が大幅に向上することが期待
されます。リン脂質は生体膜を構成する主要成分と
しての役割のみならず、リン脂質を構成する脂肪酸
組成の変化が糖・脂質代謝に影響することが報告さ
れ、大きな注目を集めています。そこで私は、リン
脂質の脂肪酸組成を制御する遺伝子を糖・脂質代謝
の中心臓器である肝臓で高発現させることで、糖・
脂質代謝異常を改善することができれば、糖尿病治
療につながると考えました。本研究では、リン脂質
の脂肪酸組成を変化させる酵素として、機能が十分
に解明されていない「リゾリン脂質アシル転移酵素
10 (lysophospholipid acyltransferase 10; LPLAT10、
別名 LPCAT4、LPEAT2)」に着目しました。

糖尿病に対する遺伝子治療では、導入遺伝子を長
期間に渡り安全に発現させる必要があります。そこ
で本研究では、私が博士後期課程時に、大阪大学大
学院 薬学研究科 分子生物学分野の教授 水口裕
之先生、准教授 櫻井文教先生（現 近畿大学薬学
部教授）のもとで開発しました、改良型アデノウ
イルス (adenovirus; Ad) ベクター「Ad-E4-122aT」
(Shimizu et al., Mol. Ther. Methods Clin. Dev., 2014;

Shimizu et al., J. Immunol., 2021) を用いることとし
ました。

改良型 Ad ベクターに LPLAT10 を搭載した「Ad-
LPLAT10」を作製し、マウスに投与したところ、糖
負荷後のインスリン分泌が上昇することで食後高血
糖が抑制されることが示されました。このメカニズ
ムについて、私は、肝臓において LPLAT10 が高発
現することにより肝臓内のリン脂質が変化し、それ
らが血中に分泌されて膵臓に作用することで、グル
コース依存性インスリン分泌が起きると考えまし
た。そこで、肝臓および血清中のリン脂質の分子
種を解析したところ、Ad-LPLAT10 投与群ではドコ
サヘキサエン酸を有するリン脂質が増加していま
した。血中に分泌されたリン脂質が膵臓からのイ
ンスリン分泌に影響を与えるかを調べるため、Ad-
LPLAT10 を投与したマウスの血清を用いてマウス
インスリノーマ細胞である MIN6 細胞を培養したと
ころ、コントロール群よりもインスリン分泌量が増
加しました。さらに、MIN6 細胞およびマウスから
単離した膵島にドコサヘキサエン酸を作用させたと
ころ、高濃度グルコース刺激下におけるインスリン
分泌量が増加しました。したがって、LPLAT10 の
肝臓における高発現は、肝臓内のリン脂質の脂肪酸
組成の変化を介して、グルコース依存性インスリン
分泌を増強することが示されました (Shimizu et al.,
FASEB J., 2024)。以上より、LPLAT10 は、糖尿病
に対する遺伝子治療法の開発の一助となることを見
出しました。

私は、2011 年に初めて本学会において研究成果
を発表いたしました。その後も毎年発表を行い、本
学会の多くの先生方に育てていただきました。そし
て、このたび本賞を受賞できましたこと、本当にう
れしく思うとともに、深く感謝申し上げます。本受
賞を励みに、遺伝子細胞治療研究に携わる様々な先
生方や次の世代を担う学生とともに、より一層遺伝
子治療研究に邁進したいと考えております。今後と
もご指導ご鞭撻を賜りますよう、どうぞよろしくお
願い申し上げます。

【男女参画委員会企画(研究室の紹介)】

信州大学医学部 小児医学教室
田中 美幸

信州大学小児医学教室の中沢教授のもと、CAR-Tの研究に携わって約15年になります。

現在は、大学院生とのCAR-T基礎研究、新規CAR-T療法の臨床開発、そして医師主導治験の治験薬CAR-T製造と、CAR-T三昧の毎日を送っています。今回、研究室紹介のテーマで寄稿の機会を頂戴しましたので、私自身のこれまでの歩みを振り返るとともに『信州大学中沢チーム』をご紹介します。

私は、迷うことなく小児科に入局した研修医時代、治療が奏功し元気に退院していく小児がんの子どもたちの笑顔に出会う一方で、あらゆる治療を尽くしてもなお増殖を続けるがん細胞の存在を目の当たりにしました。そのような手強いがん細胞に打ち勝つ方法など、当時の私には想像もできませんでした。

そんな折、思いがけず初めて研究(実験)に携わる機会をいただきました。仮説に基づいて患者さんのサンプルを解析し、仮説通りの結果が得られるという研究の楽しさを初めて教えてくださったのが、当時研修医の指導医であり大学院生だった中沢教授です。それまでは、早く一人前の臨床医になることしか考えていなかった私でしたが、研究の道を初めて意識した経験でした。

その後、小児科の中でも小児血液がんの道を選び、大学院生として基礎研究をしながら臨床医として附属病院で働いていた頃、研究留学中の中沢教授からのメールで、当時米国で臨床試験が開始されたばかりの“CAR-T”の存在を知りました。そして、CAR-Tを絶対に日本でも、という確固たる決意とともに帰国された中沢教授のもと2010年からCAR-Tの研究を始め、以後、CAR-Tと格闘し続けています。

2011年4月、私も中沢教授と同じベイラー医科大学 Center for Cell and Gene Therapy (CAGT) のRooney博士のラボに、同じ分野を専門とする夫とともに2歳の長女を連れて、2年間の研究留学の機会をいただきました。CAGTは、基礎研究ラボ、トランスレーショナル・リサーチ・ラボ、GMP準拠ラボ、隣接するテキサス小児病院およびメソジスト病院で実施されている治験支援部門などで構成されており、そこにはまさに“Bench to Bedside”の光景

が広がっていました。この時に出会ったたくさんの人たちや様々な経験のおかげで、私はこれまで、ほとんどためらうことなく、今の道を歩んでこれたように思います。ラボのボスのRooney博士は、CAGTのトランスレーショナル・リサーチ・ラボのディレクターとしても活躍されていました。また、小児科学、分子ウイルス学・微生物学、免疫学の各部門で教授も務められている著名な女性研究者です。一方で、4人のお子さんを育てるお母さんでもありました。ラボでは厳しさの中にも温かさを持ち合わせ、CAGT全体を包み込むような大きな包容力で、まるで“CAGTのお母さん”のような存在でした。Rooney博士のもとで研究に取り組めたことは、私にとってかけがえのない貴重な経験であり、大きな財産となっています。

さて、ここからは『信州大学中沢チーム』の紹介です。

まず、基礎研究ラボでは、主に大学院生が新たなCAR-Tの基礎研究に取り組んでいます。現在、小児科、呼吸器外科、産科婦人科、耳鼻咽喉科・頭頸部外科の大学院生、国内外からの留学生、一般企業からの社会人大学院生など、総勢14名の大学院生が日々実験に励んでいます。そのうち8名が女性で、子育て中、妊娠中、産休育休中の方も在籍しています。いくつかの基礎研究プロジェクトの指導を担うのは、やはりCAR-Tの研究で留学されていた斎藤章治先生と平林耕一先生です。お二人は、信州大学医学部附属病院の小児血液がん臨床チームをまとめながら、研究の指導をし、そして当院のCAR-T医師主導治験における責任医師・分担医師として、BenchとBedsideの両面を支えています。

次に、トランスレーショナルリサーチ部門についてご紹介します。この部門は、信州大学発のベンチャー企業である株式会社A-SEEDSが担っています。A-SEEDSは、アカデミア発の革新的な治療法を、確実に患者さんへ届けたいという強い信念のもと、2020年に中沢教授が創業されたCAR-T開発のためのバイオベンチャーです。私も創業メンバーとして、ともに歩んできました。現在、柳生茂希先生が代表取締役を務めておられますが、研究開発部在籍メンバーは、6割強が女性です。なかでも品質部門のリーダーを務めているのが、長谷川藍子先生です。長谷川先生とは、2016年よりCAR-Tの開発において一緒にしています。当時、信州大学の寄附講座に所属

されていた長谷川先生とともに、新しい CAR-T の臨床開発プロジェクトを進めたのが、最初の共同作業でした。その GMR CAR-T は、今、信州大学医学部附属病院で医師主導治験が進行中です。

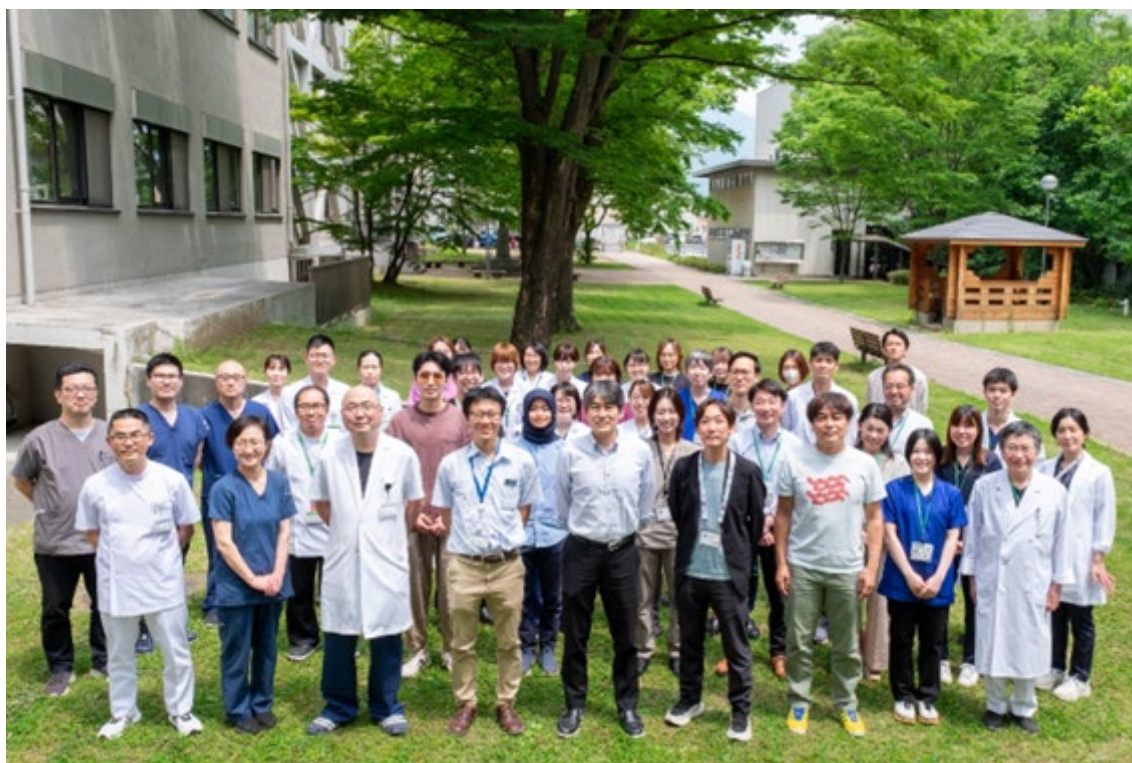
私たちの医師主導治験で投与する治験薬 CAR-T は、信州大学医学部附属病院の先端細胞治療センター内 CPC にて製造しています。数年間空調のみ維持され、使用されていなかった附属病院の CPC を治験薬製造のために再整備し、治験薬 GMP 体制を構築しました。この治験薬 GMP 体制は、附属病院 CPC のスタッフと A-SEEDS の社員とで構成されています。現在、3 件の医師主導治験における CAR-T 治験薬製造を担っています。私自身、製造部門の GMP スタッフとして治験薬の製造に従事していますが、ここでも、品質管理部門 GMP スタッフの長谷川先生とは、ときに熱く議論し、ときに励まし合いながら、互いに切磋琢磨する同志です。

このように、信州大学では、中沢ラボで生まれた新技術を、A-SEEDS が前臨床試験から薬事規制対応まで一貫して担い、そして臨床試験にまで確実に進めています。『信州大学中沢チーム』では、私が 2011 年当時 CAGT で目の当たりにした“Bench to Bedside”の流れが、いままさに実現されていると実感しています。そして、さらにその先、臨床実装に至るまでの道のりに立ちほだかる“死の谷 (Valley of Death)”も乗り越えるべく、A-SEEDS は今、加

速しています。

今回、この記事を書くにあたり改めて気づいたのは、われらチームで活躍する女性研究者の多さです。中沢教授の共同研究先の企業の研究員や代表の方も女性が多いのは偶然かもしれません。しかしながら、小児科医である中沢教授、そして A-SEEDS の柳生社長は、女性（母親）が持つ偉大な力や、いざという時に発揮する圧倒的なエネルギーをご存じであるからこそ、女性にも平等にチャンスを与えてくださり、活躍できる環境を整えられてこられたのではないかと感じています。その結果として、女性がいきいきと活躍するチームが、現在のようなかたちで形成されているのではないかと、私は個人的に考察しています。また、一緒に働く同僚も、男女問わずお互いが活躍できるよう自然に支えあっています。参観日のため勤務中の途中抜け、発熱した子供を保育園に迎えに行くために急遽早退、このようなことは日常によくありますが、みんなで自然にフォローし合いながら日々熱く CAR-T の研究・開発に取り組んでいます。

最後になりましたが、これまで多くの挑戦の機会をくださった中沢教授と、これまでの私のいくつかの決断を一度も反対せずに応援してくれた家族、そして今の環境と仲間に恵まれたことに感謝しながら、これからまだしばらく頑張っていく決意を新たに、結びとさせていただきます。



一般社団法人日本遺伝子細胞治療学会(JSGCT)
News Letter - 2025 編集局

広報委員長 中沢 洋三（信州大学医学部小児医学教室）
連 絡 先 〒100-0003
東京都千代田区一ツ橋 1-1-1 パレスサイドビル
（株）毎日学術フォーラム内
TEL : 03-6267-4550 / FAX : 03-6267-4555
Email : maf-jsgct@mynavi.jp