プロジェクト名	MitoBridge Project
代　表　者	医学部小児科・教授　竹谷健
達成に資するＳＤＧｓ目標	SDGs 目標 3（すべての人に健康と福祉を） SDGs 目標 9（産業と技術革新の基盤をつくろう） SDGs 目標 10（人や国の不平等をなくそう）
プロジェクトの意義、成果及び波及効果	本プロジェクトは、ミトコンドリア機能異常を本態とする先天性代謝疾患に対し、①間葉系幹細胞（MSC）を用いたミトコンドリア移入、②高い生体適合性と細胞膜透過性を有するスルホベタインポリマーP(SB-PEG)による高効率移入、という二つの革新的アプローチを統合し、根本的治療の実現を目指すものである。さらに本研究では、これらを単独で用いるにとどまらず、障害部位へ集積する MSC をキャリアとして活用し、ミトコンドリア内酵素と融合した P(SB-PEG)を MSC 内に導入することで、標的組織到達後に当該ポリマーを局所放出させ、ミトコンドリア機能を回復させるという、極めて先進的な標的治療戦略を新たに確立する。 SDGs 目標 3（すべての人に健康と福祉を） ミトコンドリア関連の先天代謝異常症は根治療法が乏しく予後不良であるが、本研究により機能的ミトコンドリアおよび酵素機能の補完という新規治療概念が確立されれば、重篤な臓器障害の進行抑制と生命予後の改善が期待される。 SDGs 目標 9（産業と技術革新の基盤をつくろう） MSC の組織指向性と高機能ポリマー技術を融合した新たなドラッグデリバリー基盤の創出につながり、再生医療・ナノ医療分野の発展と産業創出を促進する。 SDGs 目標 10（人や国の不平等をなくそう） 希少疾患領域に革新的治療を提供することで医療格差の是正に貢献する。 以上より、本プロジェクトは SDGs 目標 3・9・10 を横断的に推進し、先端科学に基づく持続可能な医療イノベーションの創出と社会実装に貢献できる。 研究目的を達成するための計画及び手法として、具体的なミトコンドリア関連先天性代謝疾患患者由来の疾患特異的 iPS 細胞（作製済み）を用い、疾患責任細胞への分化誘導系を確立する（ほぼ確立済み）。分化細胞においてミトコンドリア膜電位、ATP 産生能、酸素消費率、疾患関連酵素活性などを評価し、病態を再現する（50%再現済み）。その上で、正常 MSC によるミトコンドリア移入（別疾患において実験系は確立済み）、酵素融合 P(SB-PEG)単独導入、さらに酵素融合 P(SB-PEG)を搭載した MSC による複合治療を比較検討する。各治療群において、ミトコンドリア機能回復、細胞生存率、代謝異常の改善、炎症・ストレス応答の変化を解析し、最も有効な治療条件を同定する。これにより、疾患特異的 iPS 細胞を基盤としたヒト病態モデル上で、革新的ミトコンドリア補充・酵素送達治療の有効性と作用機序を明らかにする。