

## 再生医療の実現化ハイウェイ中間評価報告書

研究課題名	iPS 細胞由来網膜色素上皮細胞移植による加齢黄斑変性治療の開発
代表機関名	独立行政法人理化学研究所
研究代表者名	高橋 政代

### 1. 研究概要

本課題は、iPS 細胞由来の網膜色素上皮 (RPE) 細胞を移植することにより、網膜変性疾患である加齢黄斑変性の新たな治療技術の提供を目指すものである。代表研究者らは、ES 細胞および iPS 細胞から分化誘導して得られた、生体内の細胞と同様の機能を持つ RPE 細胞から、細胞シートを作成することに成功した。この分化誘導法をさらに高純度の網膜色素上皮細胞の集団を取得できるような技術へと改良し、製造工程の確立、CPC 文書の作成などを進め、医師法に基づく臨床研究に向けた取り組みを進めながら早期に臨床試験を実施し、一日も早く世界の医療現場へ提供することを目指す。

### 2. 評価結果

#### 現在までの進捗・成果

##### a) 進捗状況について

品質規格化のための標準作業手順書 (SOP) 完成、細胞調製施設 (CPC) の整備・運用・細胞調製、ヒト幹細胞臨床研究実施計画書作成などを達成している点は高く評価できる。また、平成 25 年 7 月に「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」に基づく臨床研究実施の許可を得ており、企業への技術移転、品質規格化や安全性試験を終え、平成 25 年 8 月に臨床研究を開始した。米国食品医薬品局 (FDA) や医薬品医療機器総合機構 (PMDA) と事前面談を開始するなど、治験や産業化に向けた取組も進んでおり、評価できる。

以上により、本課題の進捗は当初計画・目標を上回っていると評価される。

##### b) 成果について

目的とする RPE 細胞を iPS 細胞から誘導する技術を確立し、そこから細胞シートの作成に成功した点は高く評価できる。更に、RPE シート移植後、サルでの自家移植の生着安定性、ラットでの有効性を確認しており、また、十分な匹数のマウス及びラットを用いて半年以上の観察を実施して安全性を確認したこと等は優れた成果である。

以上により、本課題の成果は優れていると評価される。

##### c) 研究体制、運営等について

代表研究者はリーダーシップを発揮し、臨床研究から実用化にむけて研究機関および参画企業の協力・役割分担を整えている。また、研究グループを良くまとめて、進捗会議や技術検討会を主導し、参画各機関の連携や調整を上手く図っており、研究体制・運営ともに優れている。更に、情報公開に努めている点も評価できる。

以上により、本課題の研究体制、運営等は優れていると評価される。

## 総合評価

本課題は、iPS 細胞を用いた再生医療の臨床応用の先駆けとなるプロジェクトとして順調に進捗しており、社会的、科学的に大きな波及効果が期待される。特に、iPS 細胞由来の分化細胞の培養・純化及び安全性、有効性の検討を実施する等、他の疾患研究分野が参考に出来る成功例として評価できる。各国の規制当局(医薬品医療機器総合機構(PMDA)、米国食品医薬品局(FDA)、欧州医薬品庁(EMA))と適時相談を実施しながら研究が進められている点も高く評価できる。

以上により、本課題の進捗・成果は優れていると評価される。