

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	培養ヒト骨髄細胞を用いた低侵襲肝臓再生療法の開発
代表機関名	山口大学
研究代表者名	坂井田 功

1. 研究概要

現行の全身麻酔下に採取した自己骨髄細胞を用いた肝臓再生療法を低侵襲なものに発展させ、局所麻酔下に採取した少量の骨髄細胞液から肝機能改善効果のある細胞を体外で培養増殖し、末梢静脈から点滴投与方法を開発する。これまでのマウスを用いた基礎研究で肝機能改善効果をもたらすことが明らかとなった骨髄間葉系マーカー陽性細胞の安全性や有効性の評価を、大型動物モデル系を含めて実施し Proof of Concept (POC) を確立する。現行の方法では適応外となる進行した肝硬変患者を対象に臨床研究を開始する。

2. 評価結果

現在までの進捗・成果

a) 進捗状況について

細胞培養法の決定、安全性の確認などを終了し、平成 25 年度内に「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」に基づく臨床研究の申請を行う段階まで進捗しているが、申請に至っておらず、平成 25 年度内に臨床研究開始まで達成できる可能性は低く、当初計画通りの目標達成の見通しは立っていないと判断される。また、産業化に向けた取組においては、医薬品医療機器総合機構 (PMDA) との事前面談等の検討は初期段階にとどまっており、見通しが立てられているとは思われない。

以上により、本課題の進捗は当初計画・目標からやや下回っていると判断される。

b) 成果について

培養ヒト骨髄細胞の性状解析等は成果として評価できる一方、新たに確立した四塩化炭素投与により誘導した「ビーグル犬肝硬変モデル」が、モデルとして適切なのか、検討が必要である。また、骨髄細胞による肝機能改善機序についてはまだ十分なデータが蓄積されていないため、更なる解析が必要である。また、既に先進医療 B として実施されている自己骨髄細胞投与療法 (ABMi 療法) に対する本治療法の優位性について、動物モデルを用いて示すことが求められる。

以上により、本課題の成果はやや不十分であると判断される。

c) 研究体制、運営等について

本課題の研究体制、運営については、分担機関とも定期的に会議を開催して情報共有を図り緊密な連携を取って進める等、適切であると評価できる。

なお今後、産業化を目指した企業の本格的な参画を得て、薬事承認に向けた見通しを明確にすることが望まれる。

以上により、本課題の研究体制、運営等は適切であると評価される。

総合評価

「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」に基づく臨床研究の申請を行う段階まで進捗したものの、「1～3年目までに臨床研究に到達する」という課題 A の趣旨をふまえると、進捗及び目標達成の状況は十分ではないと判断される。

以上により、本課題の進捗・成果はやや不十分である評価される。