

## 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	培養ヒト角膜内皮細胞移植による角膜内皮再生医療の実現化
代表機関名	京都府立医科大学
研究代表者名	木下 茂

### 1. 研究概要

研究代表者らは、角膜内皮機能不全の治療には組織幹細胞を含む角膜内皮細胞移植が不可欠と考え新規治療法の研究開発に取り組んで来た。また、Rho キナーゼ(ROCK)阻害剤が霊長類の角膜内皮細胞の増殖と基質接着性を促進することを発見し、ヒト角膜内皮細胞の未分化性を維持した大量培養を可能にした。基質を用いないで ROCK 阻害剤を併用した培養角膜内皮細胞を霊長類モデルに移植する手術を行いその有用性を確認したが、ヒトにおいても培養ヒト角膜内皮細胞移植により角膜内皮再生医療の実現化を目指す。

### 2. 評価結果

#### 現在までの進捗・成果

##### a)進捗状況について

角膜内皮細胞の培養、安全性に関する検討の実施など、順調に研究を実施し、「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、平成 25 年 12 月に既に臨床研究を開始しているなど、当初計画・目標を達成している。また、産業化に向けた取組も行われている点は評価される。

なお、非臨床試験の段階から医薬品医療機器総合機構(PMDA)と薬事戦略相談を行い、治験に向けた今後の方針等について相談を行うことが望まれる。

以上により、本課題の進捗は当初計画・目標を達成していると評価される。

##### b)成果について

培養法の最適化、サルモデルでの同種移植による安全性の確認、移植細胞の性状解析等、多くの成果が蓄積されている。特に、本課題独自の方法である細胞移植時の ROCK 阻害剤の併用に関して、細胞接着促進効果の作用機序の解明、臨床応用時の最適条件の決定などは優れた成果である。

なお、有効性に関しては、細胞移植により視機能の改善がどの程度得られるのか、詳細な検討を行うことが望まれる。

以上により、本課題の成果は良好であると評価される。

##### c)研究体制、運営等について

参画機関間の連携は良好であり、多くの成果につながっている。本課題のマネジメントは良好であると評価できる。今後は、企業の本格的な参画を得て実用化への戦略をより明確に策定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

細胞の品質と有効性・安全性のバランスを良く考えながら研究開発が進められ、計画通り目標を達成しており、成果も良好であると言える。また、研究実施の結果から今後の課題等も明確に認識されている。

以上により、本課題の進捗・成果は良好であると評価される。