

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 中間評価報告書

プログラム名	再生医療の実現化ハイウェイ 課題 B
課題名	iPS 細胞技術を基盤とする血小板製剤の開発と臨床試験
代表機関名	京都大学
研究代表者名	江藤 浩之

1. 研究概要

本課題では、将来の献血者不足を考慮して献血に頼らない血液製剤の供給、あるいは献血で確保困難な稀な血液製剤の供給を目的とし、ヒト iPS 細胞から作製する血小板の研究開発を行う。目指す最終目標は、献血に頼らず、保存安定性に優れ、病原汚染の危険性を排した血小板を安定的に供給することで、人類の健康・福祉に大きく貢献し、最終的には産業的にも大きな世界的市場の形成を目指す事にある。

そこで、(1)臨床応用可能な特定の血小板型、HLA をもつ iPS 細胞を基に、巨核球細胞株を京都大学 iPS 細胞研究所内の GMP 基準細胞調製施設(以下、FiT と呼ぶ)において作製・選別し、(2)免疫不全マウス、および血小板減少を呈するウサギの疾患モデルへの輸血による有効性と安全性を確認する。(3) iPS 細胞から作製する血小板製剤に関しては、分担機関である慶應義塾大学が開発している人工血小板製剤との相乗効果も検証する。(4)更に並行して京大病院(iPS 細胞臨床開発部、小児科、血液・腫瘍内科、輸血細胞治療部、臨床研究総合センター)、日本赤十字社(以下、日赤と呼ぶ)の支援のもとに臨床研究プロトコルや実施計画書を作成し、平成 27 年から 28 年までに国内での第 1 例目の臨床研究開始を目指す。

2. 評価結果

現在までの進捗・成果

a)進捗状況について

本課題では、採択から 5～7 年目までに臨床研究に到達することが目標であるが、4 年目にあたる平成 27 年度に臨床研究の第 1 例目を見据えて着実に進捗しており、当初計画をほぼ達成している。今後は、実用化に向けて、支持細胞非存在下、所謂フィーダフリー条件下で樹立された iPS 細胞由来の巨核球細胞株のクローニングや増殖性・安定性の向上等を早期に実現することが望まれる。

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

本課題が提案するのは、血小板減少症等において、造血能が低下し、既存の治療法では十分な効果が期待されない患者への新規の治療法であり、社会的意義が高い。また、巨核球細胞株の大量培養に成功するなど、科学的及び技術的に優れた成果をあげており、類似研究分野への波及効果が期待できる。

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

輸血用血液製剤の普及に向けて、日赤が分担機関として参加している点や、ベンチャー企業による本技術のライセンスアウトを見据える等、研究体制・運営は優れている。また、臨床研究の開始に向けて、厚生労働省やPMDAに相談する等、生命倫理及び安全性への配慮がなされている点も評価できる。

以上により、本課題の研究体制、運営等は適切であると評価される。

総合評価

既に、iPS細胞から血小板を作製する基本技術を確立しており、当初の計画通りに臨床研究の開始が見込まれる点は評価できる。本課題の最終目標は、iPS細胞技術を基盤として新規の血小板製剤を開発し、産業化することであるため、今後、コスト等について検討が望まれる。

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。