

研究成果最適展開支援事業 (A-STEP) FS ステージ (起業検証) 事後評価報告書

プロジェクトリーダー (研究責任者) : 大阪大学 宮川 周士

側面支援担当 : クラレメディカル (株)

研究開発課題名 : バイオ人工膵島の開発

1. 研究開発の目的

目的は、医療用バイオ人工膵島の開発である。細胞性免疫制御の免疫隔離膜の開発に合わせた、膵島細胞供給用の遺伝子改変ブタの作出である。既存の世界最先端と考えられる「糖転移酵素 GnT-III と補体制御因子 DAF を遺伝子導入、かつ異種抗原 α -Gal を knockout (KO) したブタ」に、さらに液性免疫制御を徹底するための分子 (補体制御因子、抗凝固因子、等) を導入し、臨床応用可能な膵島細胞の供給源となるブタを作出する。糖尿病患者へのこのバイオ人工膵島を足がかりに、劇症肝炎治療へバイオ人工肝臓、透析患者にバイオ人工腎臓を供給し、欧米の単なる追随であった移植医療を変え、世界にバイオ細胞、臓器を供給する事である。

2. 研究開発の概要

①成果

今回の目標は、新規の補体制御因子や抗凝固因子の hybrid 遺伝子を構築し、細胞での発現の確認の後、ICSI 法で遺伝子導入をかけブタ個体での発現を確認することであった。更には、既存の α -Gal-KO ブタの細胞に導入し、核移植で新しいブタを作出することであった。

実施内容は、作製に手間取ったが数個の hybrid 遺伝子を作製した。そのうちの1つ、補体制御因子の hybrid の発現を細胞で確認し、ブタに ICSI (Intracytoplasmic sperm injection : 卵細胞質内精子注入) 法で遺伝子導入するところまで到達した。達成度としては、全体に遅れたが、70%程度の達成度と考える。

また、側面支援業務は、遺伝子改変ブタの市場性と、それを使用する医療機器の承認取得要件調査、事業可能性の判断、またブタ細胞利用バイオ人工膵臓としての認可取得の要件調査であるが、一応の結果は出たと考えられる。

②今後の展開

バイオ人工膵島の中身である膵島細胞を供給する遺伝子改変ブタの作製、およびバイオ人工肝臓・腎臓の開発を、各種研究開発支援制度を活用して進める。一方、クラレメディカルおよび、他の同系列の会社に人工隔離膜の作出を依頼する。

我々の技術力・この分野の見識・シーズは、現時点ではまだ世界に十二分に対抗出来るものである。また、今回企業側が問題視したブタ内在性レトロウイルス (PERV) に関しては、現在では学界で一応問題無しとされている。

3. 総合所見

当初の目標に対して、期待したほどの成果は得られなかった。ハイブリッド遺伝子を作成して野生型ブタに導入するところまでは達成されたが、遺伝子改変ブタの作出には至っていない。ベンチャー企業創出の可能性については、その結果次第と思われるため、今後の進捗に期待したい。