

**研究成果展開事業 研究成果最適展開支援プログラム**  
**本格研究開発ステージ ハイリスク挑戦タイプ**  
**平成 23 年度終了課題 事後評価報告書**

研究開発課題名	： 心筋再生医療に用いるヒト心筋幹細胞の単離・増幅技術の開発と臨床試験の開始および心筋幹細胞調製事業化への挑戦
プロジェクトリーダー	： 株式会社バイオマーカーサイエンス
所属機関	： 株式会社バイオマーカーサイエンス
研究責任者	： 松原 弘明(京都府立医科大学)

## 1. 研究開発の目的

心臓移植や人工心臓が必要な重症の心不全患者に関しては深刻なドナー(提供者)不足が社会問題となっている。心臓移植の代替医療としてこの状況を打開すると期待されているのが“心筋再生医療”である。研究責任者らはヒト心筋幹細胞の単離・増幅技術に世界で初めて成功した。その後、厚生労働省:ヒト幹細胞臨床研究に関する審査委員会及び厚生科学審議会にて承認を受け、臨床試験に必要な技術・戦略はすでに完成している。

自家心筋由来多能幹細胞の移植による重症心不全に対する心筋再生医療技術の実用化のために、臨床研究により有効性および安全性の確認、細胞増殖期間の短縮および心筋分化効率の改善、将来の企業化を視野に入れた規格化を目標とする。

## 2. 研究開発の概要

### (1) 成果

#### ① ヒトでの有効性および安全性の検証(第1相6例)

虚血性心筋症患者に対する心筋幹細胞移植治療の第1相臨床試験を実施した。目標6症例中5症例を実施し、安全性及び臨床効果に対する有益性が確認された。

#### ② CPC 業務にかかわる各種規格整備

ヒト幹細胞臨床試験において遵守すべき治験薬 GMP 基準に合致した SOP の作成とそれに準じた CPC における細胞培養技術が確立された(規格化)。培養法の改善により培養期間の短縮(1週間)が実現された。

#### ③ 細胞増殖期間の短縮および心筋分化効率の改善

研究開発期間内では増殖促進及び分化促進新規蛋白の同定には至らなかったが、心筋幹細胞由来のリプログラミング細胞が完成したことにより、心筋幹細胞の特異的増殖因子及び心筋分化因子を探索・発見することが可能となった。

### (2) 今後の展開

本研究によりヒト自己心筋幹細胞の臨床応用での安全性と臨床効果が確認されたことを受け、次相のス

トップである心筋幹細胞移植治療の高度医療制度の認定取得、そして有効性検証にむけた第2相臨床試験の実施が計画されている。

最終的な開発目標は、心筋幹細胞移植治療による心筋再生医療の実現と保険診療による標準治療化、及び国際展開による心筋再生医療の普及と企業化である。

### 3. 総合所見

目標どおりの成果が得られ、イノベーション創出の可能性がある。特異的増殖因子および心筋分化誘導因子の探索については必ずしも十分とはいえないが、重症心不全患者への自己心筋幹細胞移植による心筋再生医療の実現化について目標が達成されている。臨床結果については論文にまとめるとともに、増殖因子の探索については進めていただきたい。

以上