

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	滑膜幹細胞による膝半月板再生
代表機関名	東京医科歯科大学
研究代表者名	関矢 一郎

1. 研究概要

本課題は滑膜由来自己間葉系幹細胞を用いた半月板損傷の治療、更に変形性膝関節症の予防・治療を目的とする。研究実施項目「半月板縫合後の治癒促進」においては、半月板縫合術後に自己滑膜間葉系幹細胞を関節内投与することにより半月板の治癒を促進し、半月板縫合術の治療成績を向上させることを目指している。また、研究実施項目「欠損半月板の再生」においては、半月板が欠損した膝関節内に自己滑膜間葉系幹細胞を注入することにより半月板を再生させることを目指している。

2. 評価結果

現在までの進捗・成果

a) 進捗状況について

「半月板縫合後の治癒促進」は「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、患者に対する臨床研究の開始まで進捗している点は評価できる。

一方、「欠損半月板の再生」は動物モデル(ブタ)による前臨床試験の段階にとどまっており、臨床研究に向けて研究を推進すべきである。また、臨床研究開始前にある程度確立すべき品質指標の検討が遅れている点は改善が求められる。

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

動物モデルを用いた基礎研究において研究成果を上げたこと、更に、半月板欠損の動物モデルにおいて半月板の再生・修復を促進することを示したこと等、多くの成果を上げていることは評価できる。また、再生医療の安全性確保において共通基盤の1つとなり得るウイルス・マイコプラズマ検査系やDNA変異・変異細胞の検出系を構築しており、波及効果が期待される。

なお、滑膜幹細胞投与に関して、効果発現のメカニズム、細胞の特性、動物モデルの組織学的解析や画像評価により有効性が実証されたものの、歩行能力等の具体的な関節機能の回復に関する指標を確立した上で、臨床における有用性について更に検討されたい。

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

本課題では企業の本格的な参画を得ておらず、産業化に向けた取組が十分とは言えない。また、医薬品医療機器総合機構(PMDA)等の規制当局との相談が積極的に行われているとは思われない。企業や規制当局との対応を得意とするスタッフの強化など、体制や運営等を改善することが求められる。また、臨床応用に向けた品質検査の戦略等について、課題内での議論が未だ十分に行われていないと思われる。

以上により、本課題の研究体制、運営等はやや不十分であると判断される。

総合評価

目標とする2つの臨床研究のうち「半月板縫合後の治癒促進」は臨床研究へ到達しており、順調に進捗している点は評価される。なお、安全性試験及び臨床的有効性を支持する非臨床データについては明確に示す必要がある。また、もう1つの目標である「欠損半月板の再生」は進捗に遅延がみられる。産業化に向けた企業との連携も十分とは思われず、改善を要する。

以上により、本課題の進捗・成果はやや不十分であると判断される。