

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	iPS 細胞を用いた角膜再生治療法の開発
代表機関名	大阪大学
研究代表者名	西田 幸二

1. 研究概要

高齢化社会が進む中で、眼疾患に罹患し失明する患者は年々増加しているが、角膜移植にはドナー不足と拒絶反応という大きな問題があり、十分に患者に利益を還元できていない。本課題では iPS 細胞を細胞源とした角膜上皮および内皮の再生治療法の確立を行う。角膜上皮については、「角膜上皮幹細胞疲弊症」を治療することを目的として、iPS 細胞から移植可能な「培養角膜上皮細胞シート」の作製を目指す。また、角膜内皮については、「水疱性角膜症」を治療することを目的として、iPS 細胞から移植可能な「培養角膜内皮細胞」の作製を目指す。

2. 評価結果

現在までの進捗・成果

a) 進捗状況について

ヒト iPS 細胞より、角膜上皮及び角膜内皮への分化誘導に成功しており、特に角膜上皮については細胞シートの作成、性能評価、製造工程化をほぼ終了している。また、産業化に向けて企業との協議を開始しているなど、当初計画を概ね達成し、順調に進捗していると評価できる。

なお、角膜内皮に関しては当初計画の細胞シート移植に代え、細胞懸濁液の注入法に変更しており、角膜上皮に比べると進捗の遅れが見られるので、今後の研究加速が望まれる。

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

ヒト iPS 細胞から角膜上皮と同等の機能を持つ角膜上皮シートの作成に成功し、家兎モデルへの移植により短期間機能することを確認しており、また角膜内皮に関しても、ヒト iPS 細胞から角膜内皮と同等の機能を持つ細胞の分化誘導に成功し、サルモデルを用いて細胞懸濁液注入による前臨床試験を行うなど、成果を挙げている。

なお、角膜上皮シートでは家兎の同種移植系において2ヶ月間に渡り生着を確認するなど、成果を挙げているが、角膜内皮では細胞懸濁液の注入法によるヒト iPS 細胞由来角膜内皮細胞の生着、効果について検証中であり、今後の研究進捗を期待する。

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

研究協力者との連携、規制対応、企業との連携等に関しては適切なマネジメントが行われており、成果の創出に貢献している。

しかしながら、代表機関(大阪大学)と分担機関(慶應大学)の役割分担が明確ではなく、特に角膜内皮につ

いては代表機関と分担機関の両機関で研究を実施しており、相互の協力関係が明確ではない。

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

iPS 細胞由来の角膜上皮・内皮の臨床応用という新規の分野に対して積極的に取り組んでおり、多くの成果を挙げている。特に角膜上皮に関しては当初の予定通り進行しており、平成 28 年度の臨床研究、平成 31-33 年度の治験に向けて順調に進展している。

今後、角膜上皮・内皮ともに、実施している安全性・有効性試験が前臨床試験として十分なものであるか、詳細な検討が必要である。

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。