

再生医療の実現化ハイウェイ事後評価報告書

研究課題名	パーキンソン病に対する幹細胞移植治療の実現化
代表機関名	京都大学
研究代表者名	高橋 淳

1. 研究概要

本課題はパーキンソン病に対する幹細胞移植治療の実現化を目的とし、孤発性パーキンソン病患者に対する iPS 細胞自家移植の技術開発を行う。臨床応用可能な iPS 細胞樹立法を用いて孤発性パーキンソン病患者から iPS 細胞を樹立し、その細胞から誘導・選別したドーパミン神経前駆細胞の有効性と安全性をカニクイザルやラットの疾患モデル、ならびに免疫不全マウスへの移植で検証する。更に、GMP 準拠 iPS 細胞およびドーパミン神経前駆細胞の作成や、臨床試験プロトコル及び実施計画書の作成を行う。

2. 評価結果

現在までの進捗・成果

a) 進捗状況について

細胞移植治療の一次プロトコル及び標準作業手順書(SOP)を作成する等、計画通りの進捗が認められる。また、新規ドーパミン神経前駆細胞表面マーカーを同定し、iPS 細胞から誘導した Corin 陽性細胞を用いてラット及びカニクイザルで治療効果を確認するなど、順調に進捗したと評価できる。

なお、平成 25 年度当初の計画にある「パーキンソン病患者から樹立した iPS 細胞の分化誘導および移植安全性試験」、及び移植細胞の品質規格に関する詳細な検討について、取組を加速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

「ヒト iPS 細胞由来ドーパミン神経前駆細胞のソーティング技術」や「脳内の炎症・細胞分化モニタリング技術」の開発に一定の成果が得られている点は評価できる。また、安全性試験は移植方法や観察期間等が具体的に設定されており、SOP に沿って作成した細胞での前臨床試験につながるものとして、優れた成果である。更に、カニクイザルにおける自家・他家移植時の免疫反応について確認した点も評価できる。

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

京都大学 iPS 細胞研究所内の連携の他、京都大学医学部附属病院との連携も図られており、また、画像解析についても理化学研究所と連携して成果を上げている等、研究体制・運営は良好であると評価できる。更に、京都大学・高橋グループが「iPS 細胞からドーパミン神経前駆細胞の誘導と治療安全・有効性の解析」、理化学研究所・尾上グループが「霊長類モデルの神経炎症・分化誘導モニタリング技術の開発」を担当し、分野間連携を効果的に実施する体制が構築されたことは評価できる。

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

霊長類のパーキンソンモデルにおける自家 iPS 細胞移植で一定の治療効果が認められ、優れた評価を上げた評価できる。また、免疫拒絶時に起こる脳内炎症の有無をモニタリングするための生体イメージング技術の開発は、類似研究分野への波及効果が期待できる。更に、5～7年以内の臨床研究到達を目指した課題 B として予定通りの成果を上げたのみならず、学術的にも貢献している点で優れている。

本課題は、代表研究者及び研究グループが「再生医療実現拠点ネットワークプログラム 疾患・組織別実用化研究拠点(拠点 A)」平成 25 年度新規課題として採択されたため、これに伴い平成 24 年度を以って実施終了とする。今後の取組に当たっては、本課題の治療法は移植細胞の生着率が低く、治癒メカニズムが細胞補給によるものだけなのか、検証が必要であることに留意されたい。また、事業成果である論文発表において、事業支援への謝辞のない発表が多く、今後改善を求める。

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。