

多能性幹細胞由来移植細胞の安全性評価研究

実施機関：公益財団法人先端医療振興財団（代表者：西川 伸一）

実施期間：平成 22～26 年度平成

プロジェクトの概要

多能性幹細胞由来移植細胞の開発において最も大きな障害は、多能性幹細胞に共通かつ本質的な問題である腫瘍原性（造腫瘍能）である。また免疫原性の評価も他家移植では必須である。しかし腫瘍原性や免疫原性の評価方法に関する標準化は進んでいないことから、腫瘍原性や免疫原性に関する安全性基準も不明確である。そこで多能性幹細胞由来移植細胞の開発における安全性評価についての研究を行い、標準化に向けた提案を行うことを課題とする。また、その成果を基に、iPS 細胞由来移植細胞による網膜変性疾患の治療を開始することが最終課題である。

(1) 評価結果

総合評価	目標達成度	成果	研究計画・実施体制	実施期間終了後における取組の継続性・発展性
S	s	s	s	s

総合評価：S（所期の計画を超えた取組が行われている）

(2) 評価コメント

iPS 由来分化細胞を用いた臨床研究実施に向けて、同網膜色素細胞の安全性の確認等の検討を着実に実施しており、ヒト幹細胞臨床研究指針申請に必要な安全性情報をほぼ蓄積していることは優れた成果と高く評価できる。また、その安全性に関する広範な検討過程で得られた成果は、本分野の開発研究において、参考にされ得る内容と評価できる。本プロジェクト実施グループと臨床研究を実施するグループとの役割分担及び連携体制も良好である。今後、本研究及び予定されている臨床研究により得られる知見から、iPS 由来分化細胞の安全性評価指針の検証がさらに進むことを期待する。

- ・ **目標達成度** iPS 細胞由来分化細胞を用いた臨床研究実施に向けて、同分化細胞の造腫瘍性の確認を網羅的に実施して、その安全性確保についての必要な情報をほぼ蓄積できたことは評価できる。さらに、調製分化細胞標品の精製度確認法の開発や、iPS 細胞由来網膜色素細胞が未分化細胞による腫瘍形成を抑制する作用を有することの発見等の成果も得られたことは高く評価できる。
- ・ **研究成果** iPS 由来網膜色素細胞の免疫不全マウスへの移植検討において、腫瘍形成が認められないことを示し、その安全性の確保に向けて優れた試験結果を得たことは評価できる。さらに、RT-PCR 法による同網膜色素細胞の精製度測定法の開発、同細胞由来の分泌因子が未分化細胞による腫瘍形成を抑制する作用を有することの発見など、優れた成果と高く評価できる。また、ホームページでの情報発信も評価できる。
- ・ **研究計画・実施体制** レギュラトリーサイエンスの専門家チームとの緊密な連携体制を構築

した上で、iPS 細胞由来分化細胞の安全性の確認を効率的に実施しており、優れた成果が得られていることから、計画・実施体制は高く評価できる。

- **実施期間終了後における取組の継続性・発展性** 本研究は iPS 由来網膜色素細胞の移植による加齢黄斑変性症治療の実用化に向けて、臨床研究の実施にとどまらず、将来の治験実施も視野に入れた計画が策定されており、実施期間終了後の継続性と発展性について評価できる。