

iPS 由来再生心筋細胞移植の安全性評価

実施機関：学校法人慶應義塾（代表者：福田恵一）

実施期間：平成 22～26 年度

プロジェクトの概要

本研究はヒト iPS 細胞技術を応用し、同細胞から誘導した再生心筋細胞を移植することにより、重症難治性心不全治療を行う際の安全性、有効性を確認するための前臨床試験を行うものである。本研究により、ヒト iPS 細胞研究が現実の再生医療に応用される際の必要条件をすべて充足させ、世界に先駆けた臨床応用の道を開くことを目指している。

(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
A	b	a	a	a

総合評価：A（所期の計画と同等の取組が行われている）

(2) 評価コメント

本プロジェクトでは、iPS 由来分化心筋細胞の精製法を確立した上で、免疫不全マウス（NOG マウス）を用いた造腫瘍性の検討、マーマセットを用いた安全性確認に向けた検討等が予定通り実施されており、iPS 由来分化心筋細胞の臨床応用に向けた基盤技術の確立の見通しが得られている。今後、ミニブタにおける移植試験の計画を見直しつつ、臨床研究の早期実施に向けて心筋細胞標品の規格化、そしてその有効性評価・安全性確認の検討の早急な実施を期待する。

- **目標達成度**：ヒト iPS 由来分化心筋細胞の純化・精製法を確立し、NOG マウスを用いた造腫瘍性の検討、及びマーマセットを用いた安全性確認に向けた検討等が計画に沿って進捗している。しかし、ミニブタ iPS の樹立に時間を要しており、ミニブタでの安全性・有効性の検討に遅れが見られることから、全体としては所期の目標をやや下回る進捗である。
- **成果**：細胞の代謝能の差異に基づくヒト iPS 由来分化心筋細胞の純化・精製法（乳酸法）を確立したことは独創的かつ画期的な技術開発と評価できる。この方法により精製された分化心筋細胞を用いた NOG マウス移植試験において、腫瘍形成は認められていない。
- **研究計画・実施体制**：参画する大学、研究機関及び協力企業の連携は適切であり、それぞれの分担のもとにプロジェクトが計画に沿って展開していることは評価できる。また、ブタ iPS 細胞に関する検討も、補完可能な部分についてはヒト iPS 由来細胞を用いた試験を活用するなどの方策が立てられており、臨床研究の早期実現に向けて迅速な展開を期待する。
- **実施期間終了後における取組の継続性・発展性**：本プロジェクトの成果を基にした iPS バンクからの細胞供給の開発計画を始め、医師主導治験の実施、さらに企業との連携による多施設共同治験の実施などの将来構想が計画されていることは評価できる。