

血小板製剤の製造方法の確立と非臨床試験の実施

- 製造したiPS細胞由来血小板の評価において、新たに血小板の機能維持・安全性に重要な膜タンパク質を見出した。この膜タンパク質を用いた製法及び輸送方法の改善に向けて検討を開始した。
- 新規ラミニンの使用により、iPS細胞から不死化巨核球の製造工程の改善および規制適合が難しいセルソーティング用抗体の使用の省略が可能になることを見出した。
- 動物を用いた機能評価や単回投与毒性試験、反復投与毒性試験実施のため、臨床での投与形態を想定した容量で20ロット以上のiPS細胞由来血小板を製造した。
- 血小板製造工程の産業化への応用に向けて、巨核球から大量の血小板を放出するメカニズムを解明し、論文発表した。

臨床研究及び治験に向けた製造の開始

- 患者(自己)由来の臨床研究に向け、細胞調製施設(CPC)で複数の細胞ソース及び複数の製法によりiPS細胞を樹立し、臨床研究に用いる不死化巨核球製造と機能評価を実施した。
- 同種由来の治験に向け、CiRAのHLAホモドナー由来iPS細胞ストックから不死化巨核球の製造を開始した。また、日赤にご協力頂き、臨床上のニーズの高い複数のHLAハプロタイプの血小板の製造に向け、ドナーリクルート、iPS細胞、不死化巨核球、血小板製造を開始した。

iPS細胞由来血小板の品質評価ガイドラインの策定

- 公表可能な成果物として、「血小板誘導に適したヒト(同種)iPS細胞の品質に関する留意点と課題(中間とりまとめ)案」を作成した。

PMDAとの人材交流

<PMDAからの来所>

- 再生医療製品等審査部、ワクチン等審査部より、本事業のため計10回来所。
- iPS細胞由来血小板の臨床応用及びガイドライン作成に向けて、原材料及び最終製品の品質、ウイルス安全性、非臨床試験・臨床試験のデザインなど、あらゆる側面から助言を受けている。他のiPS細胞研究者に対しても規制に関する助言をいただき、PMDAの薬事戦略相談の円滑な実施や、薬事戦略相談後のフォローアップにつなげており、iPS細胞を用いた再生医療の実用化推進に貢献いただいている(平成27年度は、CiRA全体で薬事戦略相談の事前面談を6回(うち本事業分1回)、対面助言を6回(うち本事業分1回)実施)。

<PMDAへの派遣>

- 非常勤特任職員として再生医療製品等審査部にCiRA基盤技術研究部門准教授を派遣、審査・相談に参加している。
- 再生医療において、ゲノム変異と造腫瘍性との関係が注目されていることを踏まえ、ゲノム解析に関する審査員向けセミナーを1回実施した。