

医療分野成果展開事業/研究成果最適展開支援プログラム (AMED・A-STEP)

平成 29 年度終了課題 事後評価報告書

プロジェクトリーダー (企業責任者)	グンゼ株式会社 QOL 研究所 技術顧問 鈴木 昌和
研究責任者	大阪市立大学大学院 医学研究科 先端予防医療学 准教授 福本 真也
支援タイプ	シーズ育成タイプ
研究開発実施期間	平成 26 年 12 月 1 日 ~ 平成 30 年 3 月 31 日
研究開発課題	虚血下肢の治療を目的とした Injectable cell scaffold の非臨床試験

1. 研究開発の目的

近年、糖尿病や慢性腎不全患者の増加に伴い、その合併症である末梢動脈疾患（閉塞性動脈硬化症等）が増加している。これら四肢末梢動脈の高度の狭窄や閉塞により、難治性潰瘍や壊疽へ至ると、生命の危機に至ることもある。重症患者への治療法としては四肢切断以外の選択肢がないことも多い。四肢を切断された患者では、QOL の低下や生命予後の不良など、治療後においても様々な負担が患者に残ることになる。そのため、四肢を切断せずに重症患者を治療するために、血管新生療法が研究されている。骨髄や末梢血中から採取した自己単核細胞の移植治療では、有効性が近年示されているが、その有効性は未だ十分なものではない。本研究開発課題では、この細胞移植治療に注目し、その細胞移植療法の有効性を高めるため、細胞を接着させて移植する基材（Injectable cell scaffold : ICS）を開発し、ICS と単核細胞を用いた血管新生療法を開発することを目的としている。

2. 研究開発の概要

①成果

目標：本課題では以下の①～③を目標とした。

①ICS の安全性・有効性検証、②ICS の保管安定性検証、③ICS の非臨床試験を実施し、その結果を PMDA に提示し、データの充足性、妥当性を担保する。

実施内容：①ICS の安全性検証では ICS を動物に埋植し、埋植部位での炎症反応を検討した。有効性の再現性を検証するために、動物での血流改善効果を検証した。

②ICS を長期保管し、製品化した際の有効期限を検証した。

③モデル動物を用いて、ICS の有効性を示す非臨床試験を実施し、PMDA にデータの充足性と妥当性について相談を実施した。

達成度：①ICS は移植部位で強い炎症反応を惹起することはなかった。

②ICS の長期保管試験を実施し、2 年間の保管でも有効であることが認められた。

③ICS の非臨床試験を実施し、有効性データの充足性、妥当性を担保できた。

研究開発目標	達成度
① ICS の安全性、有効性検証	① ICS は移植部位で問題となるような強い炎症反応を惹起することはなかった。
② ICS の保管安定性検証	② ICS の長期保管試験を実施し、2 年間の保管でも有効であることが認められた。

③ ICS の非臨床試験	③ ICSの有効性に関する非臨床試験を実施し、有効性データの充足性、妥当性を担保できた。
--------------	----------------------------------------------

②今後の展開

当支援により、本開発における非臨床試験を実施することができた。今後は、安全性試験を実施し、医師主導治験で少数例の治験を検討している。医師主導治験では主要評価項目としてヒトでの安全性を検証し、安全性が担保できた際は、引き続き企業治験で有効性を検証することを検討している。

3. 総合所見

本プロジェクトにて達成目標とした細胞足場（ICS：Injectable cell scaffold）の非臨床試験において、規制当局から指摘のあった分離法による細胞特性の同等性検証に若干手間取ったものの、非臨床試験にて有効性の検証を研究開発期間中に終了できたことは、大きな成果と考えられる。本技術は虚血下肢の治療効果を大幅に高める効果が期待される。早期の実用化を実現するためにも、共同で臨床試験実施と事業化を担うパートナー企業との連携をより積極的に進めるべきであると考ええる。

※記載の情報は平成 30 年 5 月時点の情報です。