

医療分野研究成果展開事業/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

開発実施企業	セルジェンテック株式会社
研究開発担当者	代表取締役社長 麻生 雅是
支援タイプ	創薬開発タイプ
研究開発実施期間	平成26年12月～平成30年3月
研究開発課題名	LCAT遺伝子導入ヒト増殖型脂肪細胞を用いた遺伝子治療

1. 研究開発の目的

家族性 LCAT 欠損症患者における LCAT 遺伝子導入ヒト増殖型脂肪細胞の安全性及び有効性を確認する。

2. 研究開発の概要

①目標

本研究開発は、稀な常染色体劣性遺伝性疾患で、根本的治療がなく予後には人工透析、腎移植、角膜移植が必要な家族性 LCAT 欠損症（指定難病告示番号：259）を対象疾患とし、LCAT 遺伝子導入ヒト増殖型脂肪細胞を自家移植し、その安全性および有効性を検証、また当該細胞の品質・特性を解析することにより、治験への移行が可能な臨床成績を獲得することを目標とする。

②成果

特定認定再生医療等委員会の審議および再生医療等評価部会の審議を経て、平成 28 年 8 月に厚生労働大臣より第一種再生医療臨床研究計画の実施承認を受け、家族性 LCAT 欠損症患者を対象とした自家脂肪細胞を用いる世界初の遺伝子治療が実施された。移植後 24 週までの成績を基に独立データモニタリング委員会が開催され、移植用に製造した細胞の品質・特性、並びに再生医療の提供による安全性に問題はなく、LCAT 欠損によって障害された脂質代謝の改善（転送系の促進）や LCAT 欠損症特有の腎障害に関連した脂質異常の改善・消失が示唆された。その後、一年以上を経過し、重篤な有害事象（疾病）やがん化など安全性上の問題は認められておらず、LCAT 欠損症状の進展阻止が示唆され、現在も観察中である。今後の経過データならびに症例の積み重ねが必要なものの、安全性、有効性ならびに品質規格・特性ともに本研究開発目標は達成したと考えられる。

③今後の展開

本臨床研究と並行して、品質、非臨床安全性試験のレギュラトリーサイエンス戦略相談を順次実施した。今後、これらの面談結果を反映した資料作成ならびに対面助言を行い、臨床研究中核拠点の千葉大学による医師主導治験を早期に実施し、再生医療等製品

の条件及び期限付製造販売承認の速やかな取得を目指す。

3. 総合所見

家族性 LCAT 欠損症の患者さんを対象にした、自家の脂肪細胞を摘出し、LCAT 遺伝子を導入後培養し、患者さんの体内に戻す臨床研究の課題であり、当初 3 例を計画していたが、結果として患者数 1 例のみであった点は残念ではある。しかし、得られているデータは特に問題はなく、この用量での安全性は確保されている。事業性や事業モデルについてもよく考えており、医師主導治験に向けてのプロセスも明確であることから、今後の進展に期待したい。