

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109076h0003
研究開発課題名 : ナチュラルキラーT細胞活性化による慢性炎症制御に基づく新たな心筋症治療の実用化
研究代表機関名 : 国立大学法人九州大学
研究開発代表者名 : 筒井裕之

評価委員会のコメント :

○評価できる点、推進すべき点、研究事業にとって必要である理由

2施設での連携による作業進行。
計画通りに研究を進め成果が得られた。
難治性疾患に対する治療効果および安全性についてサポートする成果が非臨床レベルで得られている。
ステップ1の研究開発を着実に進めており、臨床試験に入れる状況まで進めている。
動物実験を徹底して行っている姿勢は評価される。
心筋症に対する新規治療の開発である。
着実な成果を多数出している点。
ナチュラルキラーT細胞を活性化する化合物を用いた難治性心筋症への新規治療基礎研究の蓄積。
順調に進捗しており、高く評価される。
ステップ1としての成果を達成した。良好な状況である。
 α -GalCerによるNKT細胞の活性化を介した心筋慢性炎症の制御という新たな治療パラダイムを提案していること。PMDA薬事戦略相談も複数回実施し、Phase1/2の医師主導治験の準備を整えていること。
治験に向けて着実に開発が進んでいる。
PMDAとの密接な連携が見られる。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

細胞製剤で、MoAの検出が難しそうである。
臨床試験を前提とした場合現在の体制で研究参加施設が十分にえられない可能性。
動物実験で効果は示されているが、ヒトでの臨床試験結果を見なければ判らない。
「国民との科学・技術対話」への取組みが不十分である。
医師主導治験に関する導出先が確定していないという不安要素がある。NKT細胞を治療標的とすることにより、なぜ心筋症の治療となるのかに不明の点が多い。
心筋症患者での実質的な有効性の確認は行われていない。
樹状細胞を担体とした α -ガラクトシルセラミド(α -GalCer/DC)という細胞製品の品質の標準化、各個体からの製品になるので有効性にも違いが生じる可能性など。
心筋症は慢性炎症以外の側面もあると思われるが、その点の評価が未達である。

以上