

## 事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109174h9903  
研究開発課題名 : 遺伝性筋疾患に対する新たな高効率細胞移植治療法の開発  
研究代表機関名 : 東京都健康長寿医療センター研究所  
研究開発代表者名 : 上住聡芳

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

間葉系前駆細胞との共移植が筋衛星細胞移植効率に及ぼす効果を検討し、目標としていた筋衛星細胞の移植効率 10%を達成した。

移植効率 10%で移植できた。機能改善効果はこれから。

遺伝性筋疾患全般に応用できる可能性のある細胞移植治療法の開発である当初の目標を着実に達成している。

DMD の細胞移植治療の可能性を拡大する研究である事。品質が保たれた細胞のバイオリポジトリを構築した点。

### ○疑問点、改善すべき点、その他助言等

次相に進むためには移植する細胞の規格設定が必要ではないかと考える。ヒト筋衛星細胞とヒト間葉系前駆細胞を高精度に純化する方法を確立し、品質管理されたストックを作成する体制を構築したとのことであるが、その細胞の規格に関するコメントが見当たらなかった。

DMD は全身の筋の萎縮が現れると思うが、移植治療は有望なものなのか。研究は進行しているが、実用化を考えた場合に Target Product Profile はどうなるのか。10%の移植効率の意味は。レチノイン酸以外の筋衛星細胞の分化抑制法の検討は継続するのか。

ステップ0として求められる非臨床 POC の確立と試験物の規格決定がどこまで進捗したのかが明確でない。移植効率 10%をクリアしたのみであって、筋ジストロフィーに対する治療効果が検証されたわけではない。

モデルマウスを用いた研究であるが、運動機能の解析データがなく、10%の移植効率を得たデータのみである。POC 取得と言うには不十分な印象を持つ。

以上