

医療研究開発革新基盤創成事業 (iGILE) 中間評価結果

1. 中間評価を実施した課題

課題名	造血幹細胞の体外増幅技術の開発と移植医療への応用
代表機関	ネクスジェン株式会社
公募型	スタートアップ型 (ViGILE)
公募タイプ	研究開発タイプ

2. 本課題の概要

ヒト造血幹細胞 (ヒト HSC) 移植は白血病等の血液癌を完治させる治療法であり、現在の移植技術ではヒト HSC 以外の多くの細胞が含まれること等から GVHD (移植片対宿主病) 等の副作用が問題となっている。これを解決する方法としてヒト HSC、特に長期持続的な造血に関与するヒト HSC (ヒト LT-HSC) を単離し、体外で増幅をする移植技術が期待されている。

また、臨床現場において、ヒト HSC 移植のドナーを選別するために用いる既存の指標では、レシピエントにおけるヒト HSC 移植の予後予測は困難であり、これを解決する方法の開発が望まれている。

そこで本課題では、第一に、移植時の副作用の問題を解決し、ヒト HSC 移植後の生着率を向上させることを目的として、ヒト LT-HSC をバイオマーカーにより単離し、体外で高純度に増幅するための培養方法等の最適化を行う。第二に、ヒト HSC 移植の予後予測や患者毎に最適なドナー選択を可能にし、患者 QOL を向上させることを目的として、ヒト HSC 移植予後予測コンパニオン診断システムを開発する。

3. 本中間評価の評価項目

(1) 研究開発等の進捗状況

研究開発実施計画に対する進捗状況及びあらかじめ定めた以下のマイルストーンの達成状況を確認する。

- ・ヒト LT-HSC のバイオマーカーの同定
- ・後ろ向き観察試験で得られる臨床データを用いた移植予後予測アルゴリズム開発

(2) 今後の見込み

4. 本中間評価において確認した成果

- ・持続的な造血に関与するヒト HSC の 361 個のバイオマーカーから、代表機関が独自に開発した解析手法と *in vitro* 機能試験により、ヒト LT-HSC を選択可能な 39 個のバイオマーカーを同定したこと。
- ・39 個のバイオマーカーのうち特に効果の高いバイオマーカーを組み合わせ、ヒト LT-HSC の濃縮が可能であること。
- ・約 3000 の既存症例の臨床データをもとにしたヒト造血幹細胞移植予後予測アルゴリズムを開発したこと。

5. 評価結果

ヒト LT-HSC のバイオマーカーの同定とヒト造血幹細胞移植予後予測アルゴリズムの開発は計画どおり進捗している。特に、ヒト LT-HSC を効率的に濃縮することができるバイオマーカーの同定は優れた成果であり、ヒト造血幹細胞移植予後予測アルゴリズム (プログラム) は、今後その有用性が期待できるものである。

以上をもって、本課題の継続を可と評価した。

以上