

## 再生医療実現拠点ネットワークプログラム(疾患・組織別実用化研究拠点(拠点 A))

### 研究開発課題評価(令和5年度実施)

#### 事後評価結果報告書

研究開発課題名	iPS 細胞を用いた心筋再生治療創成拠点
代表機関名	大阪大学
研究開発代表者名	澤 芳樹
全研究開発期間	平成25年度～令和4年度

#### 1. 総合評価

優れている

#### 【評価コメント】

本研究開発課題では、虚血性心疾患の治療を目指し、iPS 細胞由来心筋細胞シート治療の臨床研究の開始をめざして研究開発が実施された。京都大学 iPS 細胞研究所で樹立された臨床グレードの HLA6座ホモ iPS 細胞ストックから心筋細胞を大量かつ高効率に分化誘導する技術を確立した。その技術をもとに心筋シートを作製した。虚血性心筋症に対する iPS 細胞由来心筋細胞シートの移植はコホート A を終えて、コホート B-I に進んでいる。コホート B-I について、多施設研究として実施された点が特に高く評価できる。虚血性心筋症の改善が心筋シートによる細胞や組織のリプレイスではなく、心筋シートから放出された因子によるパラクライン効果によることを科学的に証明した成果は、今後の再生医療研究における重要な知見である。学際的な連携によって、誘導型抑制性 T 細胞による免疫抑制、未分化 iPS 細胞の除去方法の開発、致死性不整脈の誘発等も検討し、一定の成果を得ていることは、評価できる。今後は筋芽細胞由来のハートシートと iPS 細胞由来心筋細胞シートの使い分け等を明確にし、実臨床においてより有用性の高い治療法に高めていくことが望まれる。

ヒト(同種)iPS 細胞由来心筋細胞シートの拡張型心筋症への適応拡大については、本事業期間内では非臨床 PoC 取得にとどまった。本事業終了後に採択された再生医療等実用化研究事業において、医師主導治験の実施に向けた研究開発が継続されることを期待する。重厚な iPS 細胞由来心筋グラフトの開発については基礎検討を進めたものの非臨床 PoC 取得に至らなかった。重厚な iPS 細胞由来心筋グラフトの開発はパラクライン効果ではなく組織のリプレイスを目指し、引き続き非臨床 PoC 取得に向けた研究開発が進められることを期待する。

医療分野の進展に資する成果、社会的なインパクトも大きい成果を創出しており、本研究開発課題は総合的に優れていると評価される。