

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 B))

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 細胞を用いた代謝性臓器の創出技術開発拠点
代表機関名	横浜市立大学
研究開発代表者名	谷口 英樹
全研究開発期間	平成25年度～令和4年度

1. 総合評価

良い

【評価コメント】

本研究開発課題では、ヒト iPS 細胞を用いて、社会的ニーズの高い肝疾患への革新的な治療法の創出を目指した研究開発が実施された。ヒト iPS 細胞肝芽のオルガノイドは画期的な技術であり、特性を詳細に解析した成果は評価できる。代謝性肝疾患および肝硬変に対する臨床研究を開始するために、肝芽の大量製造法の確立、非臨床有効性・安全性の検討、プロトコル及び SOP の作成、臨床用肝芽の製造法の確立等が行われ、臨床研究開始の準備を整えた。代謝性肝疾患を対象としたヒト iPS 細胞由来肝芽を用いた臨床研究(安全性/有効性)については、特定認定再生医療等委員会への対応段階まで到達していることは高く評価できる。他方、肝硬変に対する臨床研究については、特定認定再生医療等委員会への申請まで至らなかったのは残念であり、今後の対応に期待したい。肝疾患を対象とした取り組みは社会ニーズに対応したものであり、臨床的有用性が期待できる。企業と積極的に連携し、製造法の検討など社会実装に向けて戦略的に開発を推進している。

科学技術としての国際競争力は高く評価でき、多くの新規技術を創出し、数多くの論文発表や学会発表を行っている。201 件の特許を出願し、海外出願も網羅したことは評価できる。

一方、代謝性肝疾患治療では特定認定再生医療等委員会の審議に時間を要し、肝硬変治療では製造肝芽を用いた非臨床 PoC 取得 ならびに安全性評価は未実施で、いずれも本事業実施期間中に臨床にアプローチできなかった。ロードマップでは社会実装にはさらに 10 年以上かかる計画であり、今後、着実に臨床に進むよう多面的に技術検討を進めることが期待される。