

# 革新的先端研究開発支援事業インキュベータータイプ (LEAP)

## 平成30年度採択研究開発課題 課題事後評価結果

### 1. 研究開発課題名：

制御性 T 細胞を標的とした免疫応答制御技術に関する研究開発

### 2. 研究開発代表者名、プログラマネージャー (PM) 名及び研究開発分担者名 (所属、役職は研究開発期間終了時)：

研究開発代表者

坂口 志文 (大阪大学 免疫学フロンティア研究センター 特任教授)

プログラマネージャー (PM)

三上 続久 (大阪大学 免疫学フロンティア研究センター 招へい教員)

研究開発分担者

天谷 雅行 (慶應義塾大学 医学部 教授)

波多野 悦朗 (京都大学 大学院医学研究科 教授)

河本 宏 (京都大学 医生物学研究所 所長)

### 3. 事後評価結果

本研究開発課題において、末梢血単核細胞から人工的に誘導した抗原特異的制御性T細胞 (induced Regulatory T cell : iTreg) を用いて、免疫炎症性疾患に対し、抗原特異的な免疫抑制または免疫寛容に基づいた細胞療法の開発を目指した。その結果、研究開発代表者らが独自に開発した技術と材料でiTreg特異的なDNAの脱メチル化によって高機能安定型iTregを創出し、臨床応用に向けた薬理研究、製造法の確立、非臨床安全性試験の基盤整備を着実に実施した。さらに、臨床試験に必要な細胞製剤としての品質を確保した上で、複数の自己免疫病患者由来のiTreg製造にも成功した。

皮膚抗原特異的自己免疫疾患である天疱瘡のモデル動物において、iTreg投与による有意な治療効果が得られていること、および重水素標識手法により生体投与後にiTregを検出する技術を確立したことは高く評価できる。また、伴走企業と協力し知的財産も十分に確保できている点は事業化に向けた取り組みとして評価できる。これらの研究成果によって多くの炎症性免疫難病の克服に繋がることを期待する。

今後は、自己免疫疾患の克服にはより長期の有効性・安全性評価が求められることから、既存の免疫抑制治療法と比較することで臨床的意義を明確にし、非臨床POC試験の堅牢な結果取得や早期の臨床試験の実施を希求する。

以上より、当初計画に照らして優れた成果が得られていると言える。