

医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）中間評価結果

1. 中間評価を実施した課題

課題名	心臓内幹細胞を用いた小児先天性心疾患患者に対する治療法の開発
代表機関	株式会社メトセラ
公募型	スタートアップ型
公募タイプ	研究開発タイプ

2. 本課題の概要

本課題の対象疾患である機能的単心室症は、正常に機能する心室が1つしかない病態である単心室症、左心低形成症候群等を含む先天性心疾患である。外科的修復術が現在唯一の治療法であり、術後発生する心不全等に対する根治療法が存在しないため、術後予後の改善が強く望まれる疾患である。

自己由来の心臓内幹細胞を用いた再生医療等製品である JRM-001 は、心機能改善に重要な因子を分泌するパラクライン効果と心筋細胞へ分化する能力があることが示唆されており、これまでの非臨床試験や臨床研究の結果から本疾患に対し高い治療効果が期待されている。

3. 評価結果

研究開発等の進捗状況及び今後の見込みについて評価した結果の概要を以下に示す。

「心臓内幹細胞の培養成功確度が向上し、品質・規格適合率は目標値を達成し臨床試験再開準備が整ったと考えられ、今後も計画通りに進捗することが期待される。」

以上、研究開発の進捗状況について課題評価委員会が評価した結果に基づき、当機構は本委託研究開発の継続を決定した。

以上