DNW-25025 の概要

課題名　　：ヒト iPS 細胞由来急性肝不全治療製剤の検証
主任研究者（Principal Investigator）：
白水　泰昌（学校法人関西医科大学　医学部）
ステージ：検証ステージ I

【標的疾患】

昏睡型急性肝不全、遅発性肝不全

【創薬標的】

肝細胞補填、肝細胞保護・再生促進

【創薬コンセプト】

低コストの簡易な製法で細胞の質と量が確保できることに加え、凍結保存から解凍後に速やかにリカバリー可能であり、パラクライン効果に加えて生体内で更に分化が進み肝機能の補填が可能な iPS 細胞由来肝幹細胞様細胞の開発

【モダリティの設定】

細胞

【創薬コンセプトの妥当性を支持するエビデンス】

以下のことが PI らにより明らかにされている。

1）肝再生機序や肝幹細胞の増殖維持機序等からヒントを得て、3 因子の添加のみで、ヒト iPS 細胞由来肝幹細胞様細胞を分化・維持できる製造方法を見いだした。
2）この方法で作製された肝幹細胞様細胞は凍結保存しても高い生存率と形質維持を示し、長期の継代後でも形質が維持されることが確認されている。更に、*in vitro* では簡便に肝細胞様に分化できることが示された。
3）この細胞をモデル動物に投与すると肝臓に生着し、肝細胞様に分化しており、造腫瘍性は示されていない。

【科学的、技術的な優位性】

- 必要最小限の分化誘導要素の組み合わせとして 3 因子にまで絞り込んだ iPS 細胞由来肝幹細胞様細胞の誘導・維持プロトコール（報告されている中では最も簡便で

低コスト、CMC 上の問題も無い）の作成に成功した（特許出願済み）。

- この方法で作製された iPS 細胞由来肝幹細胞様細胞は、長期継代（拡大培養）でも安定した形質を保ち、凍結保存にも耐性を示すため、将来的な商業生産に対応できることが期待される。

【支援ステージにおける目標】

急性肝不全モデルにおいて iPS 細胞由来肝幹細胞様細胞の有効性が示され、その作用機序も解析されている。

【関連特許】

出願番号：特願 2023-210649（発明の名称：肝幹細胞の製造方法、出願日：2023 年 12 月 13 日、出願人：関西医科大学、発明者：白水泰昌）

本資料は、創薬総合支援事業（創薬ブースター）による支援の終了時の情報をもとに作成しています。