再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム
再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（非臨床 PoC 取得研究課題）
研究開発課題評価（令和 8 年度実施）
事後評価結果報告書

研究開発課題名	MASH 肝硬変を対象としたヒト iPSC 肝臓オルガノイド移植治療法の開発
代表機関名	国立大学法人　東京大学
研究開発代表者名	谷口　英樹
全研究開発期間	令和 5 年 6 月 19 日～令和 8 年 3 月 31 日

【評価コメント】

本研究開発課題では、研究代表者らが開発したヒト iPS 細胞由来肝臓オルガノイドの再構成技術を駆使し、新たに開発した大型の融合型 hiPSC 肝臓オルガノイド(hiPSC-fLO)の移植による代謝機能障害関連脂肪肝炎（MASH）に伴う肝線維化を改善する新規治療法の確立を目指して研究開発が実施された。各研究開発項目で着実な成果が得られており、改良型 hiPSC-fLO 移植により従来薬剤治療を上回る線維化改善効果を示唆する所見が得られたこと、及び線維化の進展抑制の臨床的意義を見いだしていることは成果として評価できる。製造方法に関する特許を含む複数の特許出願や数多くの論文発表、学会発表の成果が得られている点も評価できる。一方で、貼付した hiPSC-LO による貼付位置と遠位にあるホスト肝臓への作用、および長期的な有効性を担保するための生着性について、実用化に向けてさらなる検証が求められる。免疫不全を背景とするマウスMASH肝線維症モデル（コリン欠乏高脂肪食負荷）において、評価系構築や移植手技の最適化、移植有効性の確認が行われ、着実に成果が得られているものの、臨床応用に向けて、他の小動物モデルも検討する等より頑健にすることを期待する。今後、製品の長期保存や品質の安定性を含め、引き続き研究開発が進むことを期待する。