

総括研究報告書

1. 研究開発課題名：培養ヒト角膜内皮細胞移植による角膜内皮再生医療の実現化
2. 研究開発代表者：木下 茂（京都府立医科大学 特任講座）
3. 研究開発の成果

本研究開発の第1の到達点は、規制科学としての要求水準を満たす被験物としての移植培養細胞の品質の安定性と標準化を達成する製法の最終確定である。細胞移植再生医療においても薬事法に合致する品質規格が被験者保護・安全で信頼性のある臨床試験には不可欠である。フロントランナーとして科学的に可能な範囲での細胞形質の均質性が担保される培養ヒト角膜内皮マスター細胞の絞り込みを行い、かつ、その再現性と均質性が担保される製法を確立した。

第2の到達点は、このようにして生産される培養ヒト角膜内皮マスター細胞の高品質を保証するための標準的規格試験法の確定である。この成果は同時に、別事業で検討される移植細胞の凍結保存・再融解による品質の安定性を検定する技術として本試験法を提供する。その実用性は28年度以降別事業で検証される。

第3の到達点は、被験物の細胞注入による免疫寛容や局所自然炎症誘導の可能性を、世界で初めて明らかにした亜集団レベル並びに培養細胞で検証した。同時に、核型異常の特定亜集団への局在について、前年度に得られた予備知見を科学的に固め、国際的認知につなげた。

第4の到達点は、本細胞移植治療の対象疾患である水疱性角膜症について、対象病態を科学的に解釈し、国際的に認知される臨床評価技術による疾患対象の選別法の標準化を進めた。リバーストランスレーショナル研究として、本研究のメディカル視点での質的发展につながる。新たに当該年度から加わる課題である。このことで、米国で300万人水準とされる早期フックス角膜内皮ジストロフィ患者への適用拡大の可能性を検証する。

これら当該年度の研究成果を総合化して、培養ヒト角膜内皮細胞移植による角膜内皮再生医療開発の実用化へ円滑に進展させる予定である。