

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 感覚器未来医療学・教授）
3. 研究開発の成果

平成 25 年度に 3 例の偵察的臨床研究（1 ロットの細胞から 1 例の対象患者に細胞移植）の培養ヒト角膜内皮細胞移植を実施した。ヒト幹申請した試験実施計画書に基づいて予定観察期間（6 ヶ月間）にわたり詳細に観察し、平成 26 年 8 月に安全性と主要・副次的有用性を確認した。さらに細胞移植技術や移植後臨床評価法の実践的探索など臨床課題を早期に抽出し、科学的妥当性を超える品質上の問題の無いことを確認した。平成 26 年 9 月に実践的臨床研究を再開し、1 ロットの細胞から 2 例の対象患者に細胞移植を行う臨床研究を 8 例実施した。ヒト幹申請した試験実施計画書に基づいて観察を行い良好な応答を示すことを確認した。先行する代替医療である角膜内皮移植術との比較については、術後視機能における本治療の優位性が明らかになりつつある。

新たな課題として培養ヒト角膜内皮細胞が複数の亜集団で構成されることがあり、移植細胞としての適格性を判定する技術をほぼ完成した。対象疾患病態拡大の可能性を検討するにあたり評価基準設定のために、対象患者の術前の前房水中のサイトカインを解析した。このことは、細胞移植において細胞品質の多様性（不均質性）とともに、対象病態の多様性に対しても留意が必要なことを示している。

当該年度には第一種再生医療等製品として本邦初の認可を受け、水疱性角膜症患者を対象に培養ヒト角膜内皮細胞移植の再生医療等安全性確保法に準拠した臨床研究を 19 例実施した。この臨床研究の成果をもとに、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を円滑に進展させる予定である。