

2023年12月26日

各位

住友ファーマ株式会社
京都大学 iPS 細胞研究所
京都大学 iPS 細胞研究財団

米国における「iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞を用いたパーキンソン病治療」に関する 医師主導治験開始のお知らせ

住友ファーマ株式会社(本社:大阪市、代表取締役社長:野村 博、以下「住友ファーマ」)、国立大学法人京都大学 iPS 細胞研究所(本部:京都市、所長:高橋 淳、以下「CiRA」)、公益財団法人京都大学 iPS 細胞研究財団(本部:京都市、理事長:山中 伸弥、以下「iPS 財団」)は、カリフォルニア大学サンディエゴ校(University of California, San Diego School of Medicine、以下「UC San Diego」)の Sanford Stem Cell Institute CIRM Alpha Clinic が、iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞を用いたパーキンソン病治療(以下「本治療」)に関する医師主導治験(以下「本治験」)の IND(Investigational New Drug Application)を 2023 年 10 月に米国食品医薬品局(FDA)に申請し、このほど FDA による 30 日調査が完了し、本治験を開始する準備が整いましたことを、お知らせします。

日本では、2018 年より京都大学医学部附属病院(以下「京大病院」)において、CiRA の高橋淳教授らの研究グループが日本医療研究開発機構(AMED)の再生医療実現拠点ネットワークプログラム等で開発した本治療法の安全性と効果を確認するために、医師主導治験が実施されています。この治験に関与している研究者は UC San Diego の本治験関係者と情報交換を行ってきました。

米国で実施される本治験では、京大病院の治験と同様に、iPS 財団が iPS 細胞ストックプロジェクトで提供している iPS 細胞(QHJI ドナー由来)を使用し、住友ファーマがドパミン神経前駆細胞を国内で製造したうえで UC San Diego に提供する予定です。住友ファーマは、本治験の実施に要する費用の支援も行う予定であり、本治験のデータを今後の米国での本治療開発に利用する予定です。

再生・細胞医薬分野の技術・ノウハウを一日も早く世界中の患者さんにお届けするために、住友ファーマ、CiRA、iPS 財団が連携して本治療の実用化に向けて取り組んでいます。海外での実用化を目指し、本治験と並行して、住友ファーマによる企業治験の早期開始に向けた準備も進められています。

【本治験の概要】

被験製品	CT1-DAP001
開発段階	フェーズ 1/2
対象	パーキンソン病
治験デザイン (目標症例数)	単施設、非盲検、非対照 (7 例)
主要評価項目	安全性：有害事象の発現頻度と程度
副次評価項目 (有効性)	運動症状評価 他

(ご参考)

パーキンソン病

パーキンソン病は、脳内のドパミン神経細胞の変性・脱落に伴い線条体のドパミン含量が著明に減少することにより、脳の運動機能をつかさどる大脳基底核神経回路の働きに不均衡が生じることによって運動症状が発現すると考えられている慢性進行性の神経変性疾患です。

パーキンソン病に特徴的な運動症状は、振戦、筋強剛、動作緩慢および姿勢反射障害の4大症状です。運動症状は、多くは振戦から始まり、次いで動作緩慢や筋強剛が認められ、一側の上肢または下肢より他肢へと緩徐に進展します。更に進行すると、姿勢が不安定になる姿勢反射障害が見られるようになります。このように運動症状は四肢より体幹部へと拡大し、緩徐に進行していきますが、運動症状以外にも、自律神経症状や精神症状、睡眠障害等の非運動症状も認められます。

ドパミン神経前駆細胞

ドパミンは神経伝達物質の一つで、ドパミン神経細胞の中で作られます。パーキンソン病は、ドパミン神経細胞が進行性に失われ、ドパミン産生量が減少することにより発症します。ドパミン神経前駆細胞は、ドパミン神経細胞に分化する手前の細胞です。パーキンソン病モデル動物を用いた研究から、ドパミン神経前駆細胞を移植することによって脳内に成熟ドパミン神経細胞を効率的に生着させられることが明らかになっています。

iPS細胞(人工多能性幹細胞)

体細胞を遺伝子導入・タンパク質導入・薬剤処理等により人為的に初期化して得られる細胞または当該細胞の分裂により生ずる細胞であって、内胚葉、中胚葉および外胚葉の細胞に分化する性質を有し、かつ、自己複製能力を維持しているものです。

以上

○本件に関するお問い合わせ先

住友ファーマ株式会社 コーポレートコミュニケーション部

E-mail: prir@sumitomo-pharma.co.jp

○CiRAに関するお問い合わせ先

京都大学 iPS 細胞研究所 国際広報室

E-mail: media@cira.kyoto-u.ac.jp

○iPS 財団に関するお問い合わせ先

京都大学 iPS 細胞研究財団 企画推進室広報グループ

E-mail: contact@cira-foundation.or.jp