

『再生医療の実現化プロジェクト 再生医療の実現化ハイウェイ』
【新技術説明会(再生医療関連分野)】

ヒト胚性幹(ES)細胞製剤

梅澤明弘

(独)国立成育医療研究センター
再生医療センター

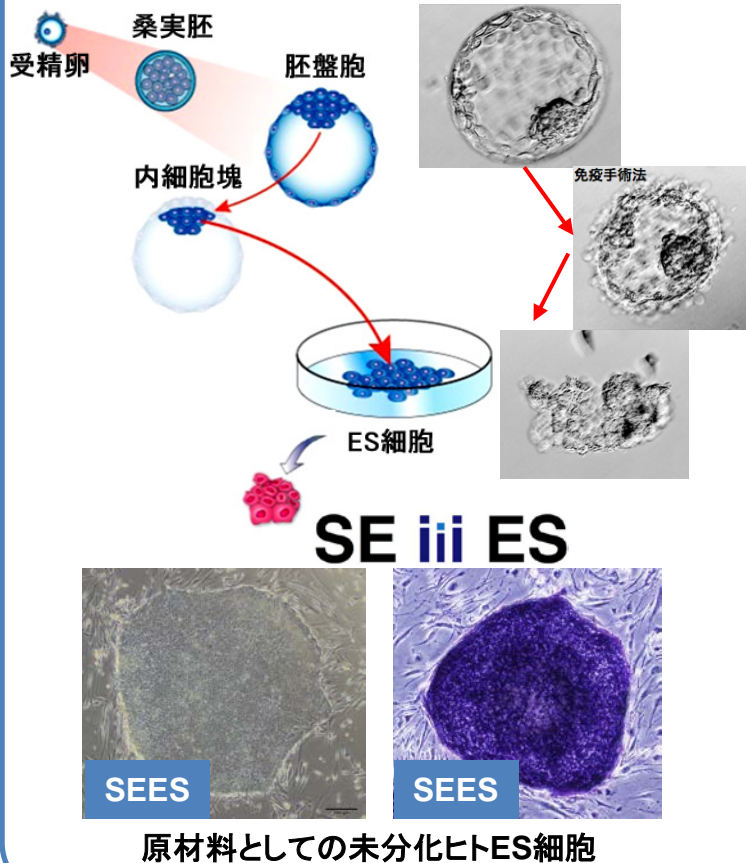
ヒトES由来肝細胞

平成21年文部科学省告示第156号 「ヒトES細胞の樹立及び分配に関する指針」

ヒトES細胞加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針

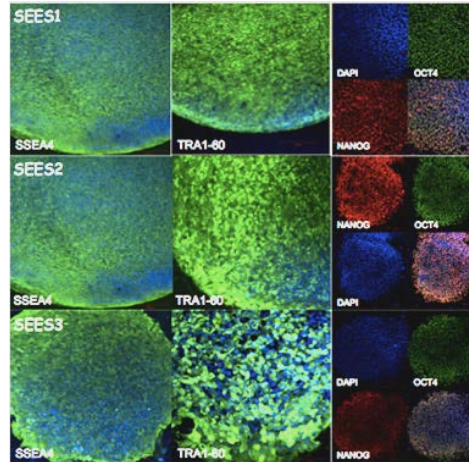
—総則、原材料及び製造関連物質、製造工程に関する留意事項について— (早川堯夫他, 「再生医療」10:249, 2011)

ES細胞の樹立

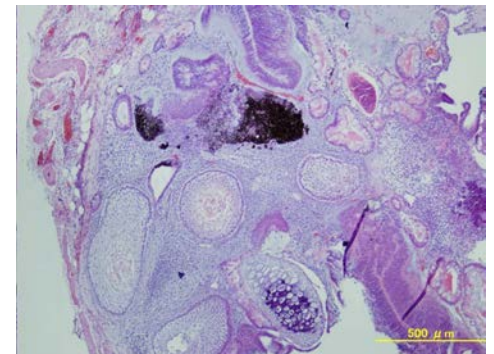
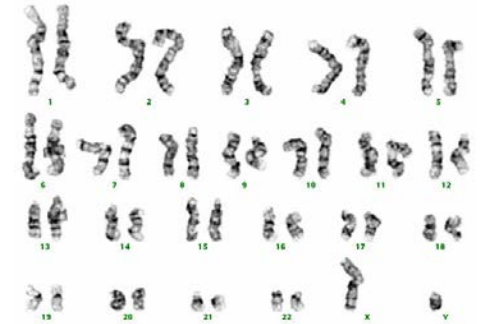


ヒトES細胞(原材料)の特性解析

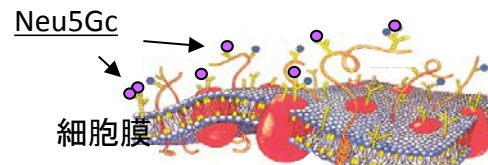
細胞純度、細胞生存率、形態学的特徴、細胞増殖特性、生化学的指標、免疫学的指標、特徴的産生物質、核型、分化能 等



幹細胞マーカー



奇形腫形成



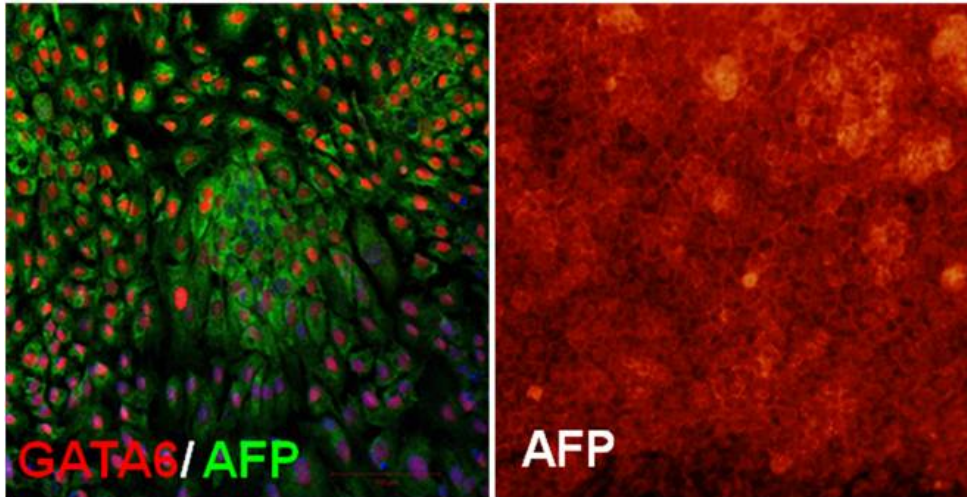
異種糖鎖

ヒトES細胞加工医薬品等の品質及び安全性 —原材料及び製造関連物質、製造工程について—

利 点

- ・侵襲が低い。
- ・ロット管理が容易。
- ・凍結保存が可能。
- ・細胞生存率が高い。

平成21年
文部科学省告示第157号
「ヒトES細胞の使用に関する指針」



GATA6とAFPの重染色 AFP抗体による免疫染色

ヒトES細胞を肝細胞への分化誘導
肝細胞マーカーである α フェトプロテイン(AFP)と
GATA6転写因子が全ての細胞で陽性となる。

ヒト幹細胞加工医薬品等の品質及び
安全性の確保に関する指針(案)
—ヒト体性幹細胞、iPS(様)細胞又は
ES細胞を加工して製造される医薬品
等(ヒト幹細胞加工医薬品等)の最終
製品の品質管理—

(早川堯夫他,「再生医療」10:261, 2011)

最終製品の品質管理法

- ・細胞数並びに生存率
- ・確認試験
- ・細胞の純度試験
- ・目的外生理活性物質に関する試験
- ・製造工程由来不純物試験
- ・無菌試験及びマイコプラズマ否定試験
- ・エンドキシン試験
- ・ウイルス試験
- ・効能試験
- ・力価試験
- ・力学的適合試験

最終製品の安定性

- ・生存率及び力価に基づく安定性試験
- ・運搬手順の妥当性

新技術の特徴・従来技術との比較

- 今回開発しているヒトES細胞製剤は肝臓機能を有します。ロット管理が容易で、安定供給が可能であるという利点がございます。従来までに様々な理由（低体重、ドナー不足等）で生体肝移植を実践できなかった患者に対するアプローチが可能となります。

実用化に向けた課題

- 現在、ヒトES細胞製剤について、治験届の作製に必要な有効性、安全性に関するデータを取得しています。また、医師主導治験に向けた様々な取り組みを行っています。
- 実用化に向けた課題として、治験終了後の製造販売承認に向けた取り組みが課題となっています。

企業への期待

- ・ヒトES細胞加工医薬品について、承認届けまでは、国立成育医療研究センターにて、治験薬製造を含めて、医師主導治験を行って参ります。
- ・承認届け以降のヒトES細胞加工医薬品の製造販売業についてご協力いただける企業のご参加を期待しています。

お問い合わせ先

独立行政法人 国立成育医療研究センター
再生医療センター センター長 梅澤明弘
リサーチコーディネータ 齋藤佳代子

saito-ky@ncchd.go.jp

TEL:03-5494-7047

FAX:03-5494-7048