

## 「革新的血小板創製技術の確立と医療応用」プロジェクト 終了(事後)評価報告書

日時: 平成 30 年 9 月 21 日(金) 15:30~17:30

場所: KSP 東棟 2 階 201 会議室

委員: 成戸 昌信 東レ経営研究所 特別研究員(非常勤)

横山 健次 東海大学医学部附属八王子病院 血液・腫瘍内科学 教授

佐竹 正博 日本赤十字社 血液事業本部 中央血液研究所 所長

森下 芳和 PuREC 株式会社 事業開発マネージャー

報告者: 革新的血小板創製技術の確立と医療応用プロジェクト・リーダー 松原 由美子

松原リーダーの成果報告、事務局からの説明(プロジェクト自己評価および特許、予算実行、成果発表、委託事業、共同研究、研究助成など関連情報)の後、質疑応答を行い、その後、評価委員のみによる審議を行った。

### 総評:

人工血小板の生産プロセスとして独創的な技術の基礎を確立したと認められる。成果の公表、特許化、企業などとの共同研究も進んでおり、ベンチャー企業(AS 社)の設立に至った。本プロジェクトの目標の大半は達成し、プロジェクトとして順調に進んだと判断し、高く評価できる。今後他の助成金および AS 社での開発が進むことを期待したい。血小板輸血の代替手段とすることは難度が高いと予想され、ターゲット市場、製品コンセプトを明確にし、早期に実用化することを期待する。

### 審議内容要約:

#### 1. プロジェクト前半(基本的製造プロセスの開発):

脂肪由来の間葉系幹細胞(ASC)から、外来遺伝子の導入なしに血小板を生成できるという発見は独創的である。遺伝子導入を必要としないことは、血小板生成までの煩雑さ、生成物の安全性の観点から、先行している iPS 細胞からの血小板生成に対してアドバンテージであると考えられる。脂肪組織から血小板までの新規プロセスの確立、株化細胞 ASCL の樹立などについて論文発表、特許出願・特許化を行い十分な成果を出している。

2. プロジェクト後半(大量製造法確立):

製造血小板の機能を in vitro, in vivo で確認し、測定したパラメータの範囲では輸血用血小板とほぼ同性能であることを示したことは高く評価できる。ただし、実用化を前提とした製造法、規格については報告書、説明に明確な具体的成果が示されていないため、当初目標に対してまだ開発途上にあると判断せざるを得ない。ASCL の確立と大量培養、血小板への分化効率、精製、品質規格、保存法(安定性)などの確立、また血小板輸血に使用した場合の血栓症発症、抗 HLA 抗体産生の懸念は開発上重要な技術課題である。今後実用化に向けて他の助成金の支援により実用化に向けた開発がさらに進むことを期待したい。

3. 実用化に向けて:

ベンチャーAS社を起業して技術移転を行っていること、製造、機能評価、適応症選択などで幅広いネットワークを組んでいることが評価できる。一方で、競合技術である iPS 細胞からの血小板(京大・メガカリオン社)が大規模に開発されている。また、血小板輸血は継続的に大量に投与する必要があり、コスト面では既存の献血からの血小板(製剤)に対して極めて厳しいと予想する。本プロジェクトの血小板は現時点で基本的な機能が確認されているが、血小板輸血に使用するためには解決すべき課題はある。まずは、投与量が少なくコストの問題、血栓症発症や抗 HLA 抗体産生の危険性が少ない血小板製剤の開発を期待したい。

以上

平成 30 年 10 月 5日

委員長 成戸 昌信

