



平成 29 年 8 月 7 日

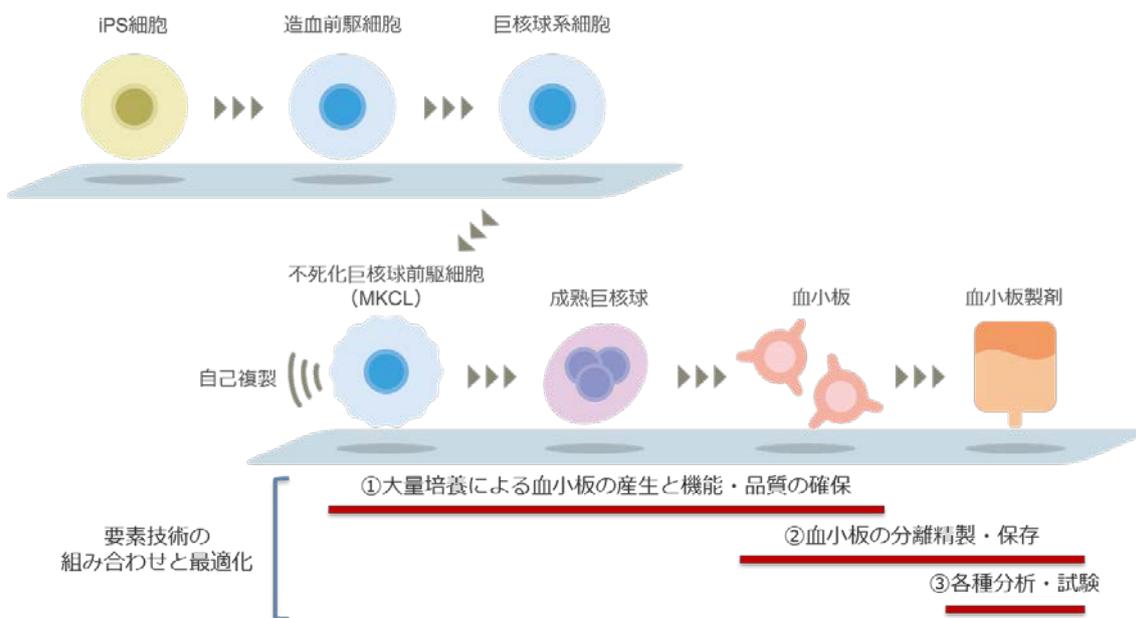
日本企業コンソーシアムによる ヒト iPS 細胞由来血小板製剤の製法確立について

株式会社メガカリオン（本社：京都市下京区、代表取締役：三輪 玄二郎）は、iPS 細胞¹⁾を用いた当社独自の血小板産生技術並びに日本企業保有の周辺要素技術を結集し、ヒト iPS 細胞由来血小板製剤について臨床試験用製剤の製法を確立しました。今後は、2020 年を目途に医療現場での応用に向け量産体制の構築に努めて参ります。

血小板を始めとする血液製剤による輸血医療は、最も基本的な治療手段、医療インフラの一つですが、その製造に要する輸血用血液は全て献血に依存しています。中でも献血血小板製剤は、日本では有効期間が採血後 4 日間と定められていることから、医療現場では需給調整に細心の注意を強いられています。また、今後は少子高齢化が一層進むことで、長期的に献血不足が懸念されています。他方、頻回の血小板輸血を受けた患者の中には、血小板上の HLA²⁾抗原の存在によって HLA 抗体が産生され、輸血効果を認めなくなることがあります。このような患者には HLA 型を適合させた「HLA 適合血小板」が必要となりますが、HLA は遺伝的に両親からその半分ずつを受け継ぐため、親子や兄弟の間でも一致する確率は低く、非血縁間では数百～数万分の 1 の確率でしか一致しないといわれています。当社が開発するヒト iPS 細胞由来の血小板製剤は、このような献血血小板製剤が抱える需給問題並びに HLA 適合血小板の確保という課題を一元的に解決できる手段として、早期の実用化が望まれています。

当社は、ヒト iPS 細胞から自己複製および凍結保存が可能な不死化巨核球前駆細胞 (MKCL) を誘導し、MKCL から大量且つ安定的に血小板を産生させる基盤技術を有していますが、血小板製剤の製造には当社保有の MKCL を起点とし、①大量培養による血小板の産生と機能・品質の確保、②血小板の分離精製・保存、③各種分析・試験といった要素技術の組み合わせと最適化が必須となります。そこで、これら要素技術を有する日本企業と連携（共同研究、業務委託等）、コンソーシアムを形成し、臨床試験に用いる為の血小板製剤の製法を確立しました。

当社が取り組むヒト iPS 細胞を用いた革新的な再生医療技術が、日本企業とのコンソーシアムによって事業化されることは、世界の医療分野における我が国の国際競争力の強化に寄与し、参加企業のより一層の技術競争力の蓄積や応用範囲の拡大に結び付くことが期待されます。



図：ヒト iPS 細胞由来血小板製剤の製造フローと要素技術の関係

ヒト iPS 細胞由来血小板製剤製造の要素技術コンソーシアム（順不同）

① 大量培養による血小板の産生と機能・品質の確保

- 佐竹化学機械工業株式会社（本社：埼玉県戸田市、代表取締役社長：西岡 光利）
- 日産化学工業株式会社（本社：東京都千代田区、代表取締役社長：木下 小次郎）

② 血小板の分離精製・保存

- 株式会社大塚製薬工場（本社：徳島県鳴門市、代表取締役社長：小笠原 信一）
- 川澄化学工業株式会社（本社：東京都港区、代表取締役社長：昌谷 良雄）
- 株式会社京都製作所（本社：京都市伏見区、代表取締役会長兼 CEO：橋本 進）

③ 各種分析・試験

- シスメックス株式会社（本社：兵庫県神戸市、代表取締役会長兼社長：家次 恒）
- シミックグループ
 - － シミックホールディングス株式会社
（本社：東京都港区、代表取締役 CEO：中村 和男）
 - － シミック株式会社（本社：東京都港区、代表取締役社長：藤枝 徹）
 - － シミックファーマサイエンス株式会社
（本社：東京都港区、代表取締役社長：小作 寛）

他 6 社

当社は、オープンイノベーションによるインフラ構築という事業化コンセプトの下、日本の技術を結集し、ヒト iPS 細胞由来血小板製剤について、日本にて速やかに臨床試験を実施し再生医療等製品の早期承認制度を利用することで、2020 年の製造販売承認取得を目指します。また、我が国初の iPS 細胞由来の再生医療等製品として、米国をはじめとする医療先進国、更には途上国への国際展開を進めて参ります。

1) iPS 細胞

iPS 細胞（induced pluripotent stem cells：人工多能性幹細胞）とは、体細胞へ数種類の遺伝子を導入することにより、分化万能性と、分裂増殖を経てもそれを維持できる自己複製能を持たせた細胞のこと。2006 年、山中伸弥教授率いる京都大学の研究グループによってマウスの線維芽細胞（皮膚細胞）から初めて作られた。分化万能性を持った細胞は理論上、体を構成するすべての組織や臓器に分化誘導することが可能であり、再生医療の実現に向けて、世界中の注目が集まっている。

2) HLA

HLA（Human Leukocyte Antigen：ヒト白血球抗原）は 1954 年、白血球の血液型として発見され、その後の研究から白血球だけにあるのではなく、ほぼすべての細胞と体液に分布していて、組織適合性抗原（ヒトの免疫に関わる重要な分子）として働いていることが明らかになっている。HLA は多くの抗原の組み合わせで構成され、さらにそれぞれが数十種類の異なるタイプをもち、その組み合わせは、数万通りともいわれている。一方、HLA はヒトの体の中で重要な免疫機構として働いており、その主な役割は自己認識をすることにある。自分の HLA のタイプに合わないものはすべて異物と認識して攻撃を始めてしまうため、造血幹細胞移植や臓器移植、再生医療等では HLA の適合性が重要であるが、HLA は両親からその半分ずつを受け継ぐため、親子や兄弟の間でも一致する確率は低く、まして非血縁間では数百～数万分の 1 の確率でしか一致しないといわれている。

【株式会社メガカリオンについて】

当社は、東京大学医科学研究所の中内啓光教授、京都大学 iPS 細胞研究所の江藤浩之教授らの開発したヒト iPS 細胞由来の巨核球を不死化・凍結保存する技術の周辺知財を保有しており、ヒト iPS 細胞から誘導した巨核球が産生する血小板の臨床応用を目指して 2011 年 9 月に設立されました。我が国初の iPS 細胞を用いた再生医療の臨床応用および事業化を加速し、献血に依存しない、①計画的安定供給が可能で、②感染等のリスクを排した、③医療コストの低い、ヒト iPS 細胞由来血小板製剤を世界の医療現場へ提供することを目指します。当社は、平成 27 年 3 月 19 日の第 13 回国家戦略特別区域諮問会議に於いて、世界の医療分野における我が国の国際競争力の強化に寄与する取り組みであるとともに革新的な再生医療に関する研究開発であり、その事業化の推進が国家戦略特区の目標に合致するものとして、国家戦略特別区域法に基づく特定中核事業の適用第 1 号案件として内閣総理大臣より認定を受けました。

【本件に関するお問い合わせ先】

株式会社メガカリオン

広報担当

Mail: info@megakaryon.com

Tel: 03-5423-5898（東京オフィス）