

令和3年7月9日

報道機関 各位

## 【記者会見】難病「低ホスファターゼ症」小児患者への 新しい治療法「REC移植」の治験開始

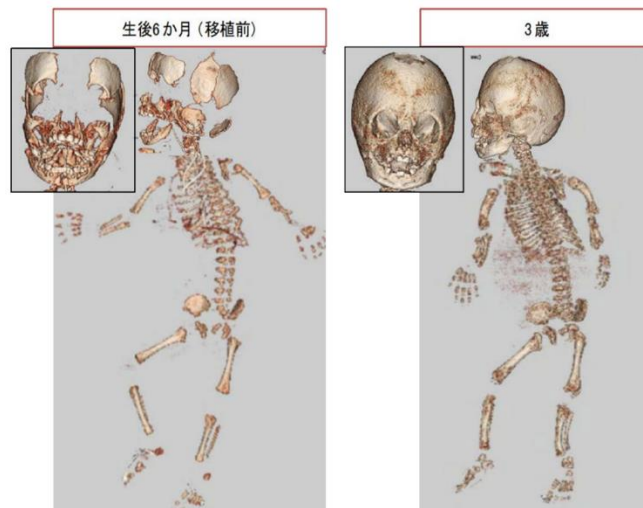
### ◆本件のポイント！

- 根治療法のない難病に対する画期的新治療法
- 高純度の幹細胞生着で骨を再生
- 移植細胞は島根大発バイオベンチャーが開発

### ◆本件の概要

島根大学医学部附属病院は、同大学医学部小児科の竹谷健教授らを責任医師とする研究グループによって、生まれつき骨形成が困難な難病である低ホスファターゼ症小児患者を対象に、骨分化能が高い高純度間葉系幹細胞（REC-O1）を移植する新しい治療法について安全性、有効性を評価する医師主導治験を開始します。

### ◆本件に関する写真



Taketani T *et al.* Cell Transplant 2015

### ◆概要内容

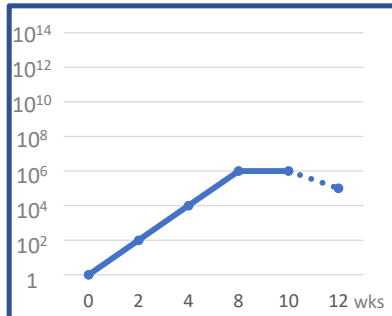
日時：2021年7月15日（木）13:00～14:00

場所：島根大学医学部本部棟5階 大会議室 および Zoom によるハイブリッド記者会見

参加者：島根大学医学部附属病院長 椎名浩昭  
島根大学医学部小児科学講座 教授 竹谷健  
PuREC（株）取締役兼 CSO（島根大学医学部生命科学講座 教授） 松崎有未  
株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング新規事業部 マネージャー 渡部正利喜  
岡山大学病院 新医療研究開発センター・橋渡し研究支援室 シニアリサーチマネージャー 菊池崇

◆お問い合わせ 島根大学医学部総務課企画調査係 TEL 0853-20-2018

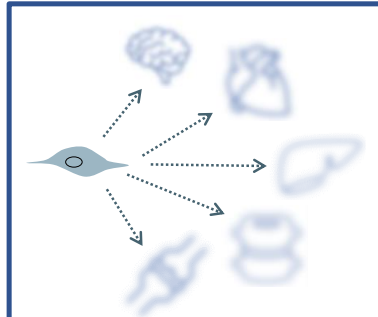
## これまでの間葉系幹細胞の課題



### 増殖？

能力の高いMSCを単離することが極めて難しく、10<sup>6</sup>個を超えての増殖が困難なことが多い。

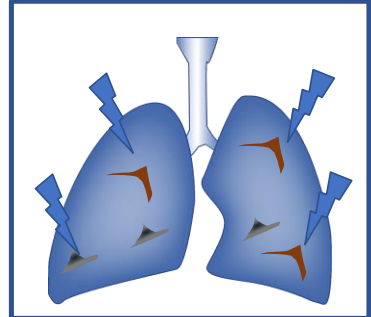
高い製造コスト



### 分化？

「幹細胞」と名付けられているが、他の臓器に分化する能力が低いことが多い。現在の承認薬はいずれも、分化そのものは期待されていない。

効果に限界



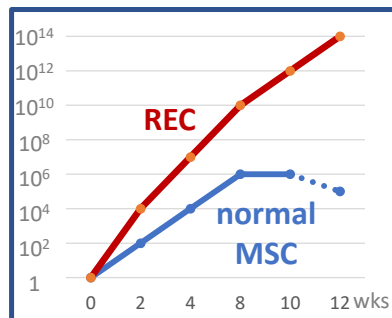
### 遊走？

不純物の除去が難しく、MSCそのものの形態もバラバラで、遊走能に劣る。IV投与すると、肺塞栓を惹起するリスクがある。

安全性に課題

## すべての課題を克服する REC

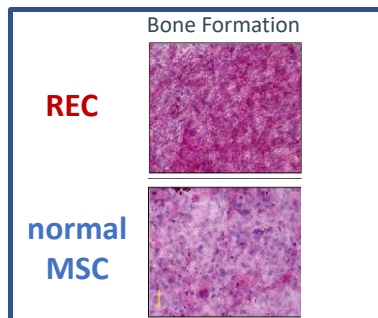
高純度間葉系幹細胞 **REC: Rapidly Expanding Cells**



### 驚異的な増殖能

高い純度をもつRECはシングルセルから10<sup>12</sup>個まで12週間で増殖する。

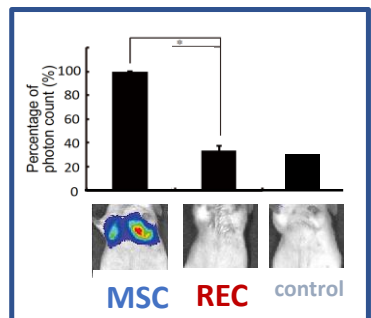
生産性



### 明確な分化能

通常のMSCと比較して、RECは明確な分化能をみせる。骨形成については、特に顕著。

有効性

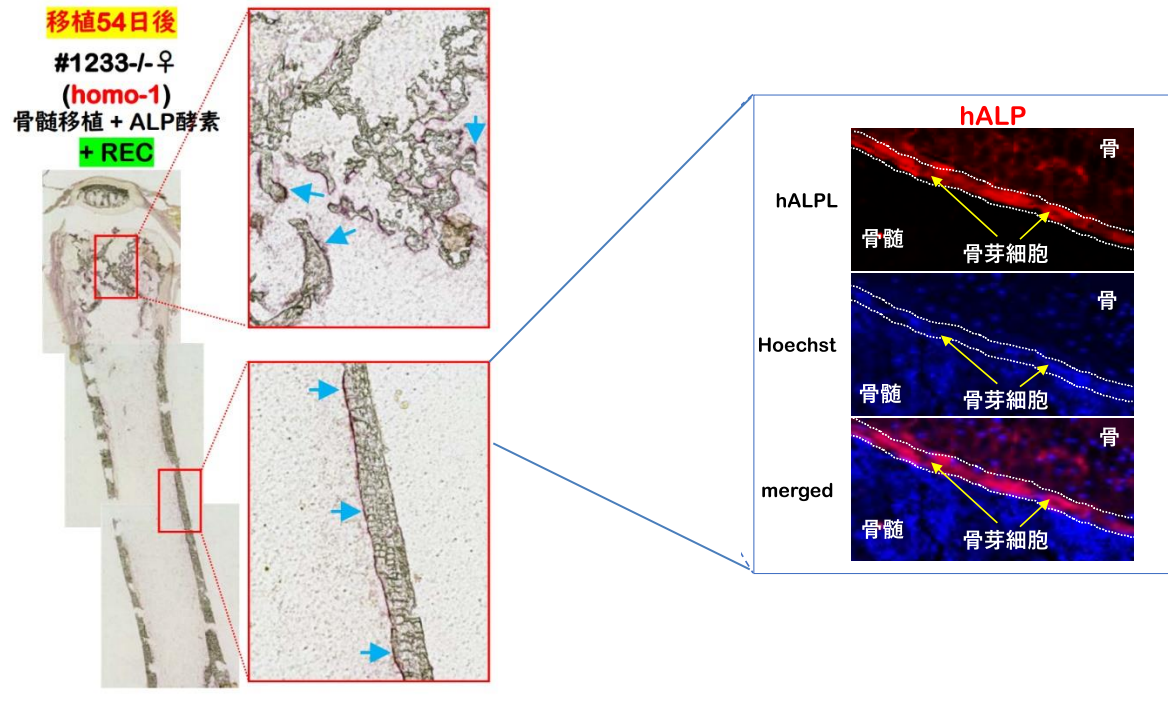


### 高い遊走能

通常のMSCはマウスへにIV投与すると肺塞栓を起こし死亡するケースが多い。RECはそのような兆候なし。

安全性

## 疾患モデルマウス体内で REC はヒト骨芽細胞に分化



## REC 移植により $Alp^{-/-}$ マウスの生存率が改善

