

## 特別講演 II

### 『造血幹細胞の体外増幅技術の確立と臨床応用へ向けた取り組み』

セレイドセラピューティクス株式会社  
代表取締役社長 CEO

荒川 信行

当社は、2020年に創業した東京大学発・筑波大学発ベンチャーで、創業の基盤技術である造血幹細胞（HSC: Hematopoietic Stem Cell）の体外増幅技術を用いて、血液・免疫疾患等への新しい治療法に繋がる製品・技術を開発・提供を目指している。難病に苦しむ人々のQOLを向上し、豊かに生きられる社会作りに貢献することをVisionとし、「パイプライン開発」と「プラットフォーム技術」の2事業を進めている。パイプライン開発としては、アンメットニーズの高い小児・難治性血液疾患や市場性の高い白血病の細胞治療製品の開発を中心に、多発性骨髄腫や血管新生向け製品（off-the-shelf）等の複数パイプラインを開発中である。

これまでヒト造血幹細胞の体外増幅は難しいとされていた。2019年にアルブミンをのりの成分であるPVAで代替し、骨髄生着能を持つ機能的なマウス造血幹細胞を1か月で約900倍増幅可能であることを東大医科研の山崎教授・中内教授のチームが発見した。更に、2020年にヒト造血幹細胞において、アルブミンをPVA誘導体で代替できることを発見し、さらにサイトカイン（SCFやTPO）も化合物で代替できることを見出し、ケミカルベースの増幅培地で未分化性を維持しHSCを増幅すること技術の開発に成功し、臨床応用への道が開けた。競合技術と比較しても、In vitroのFACS解析でヒトHSCを高純度で増幅できることを確認しており、免疫不全マウス（NOGマウス）によるIn vivo移植試験において、増幅HSCは骨髄に生着し、骨髄系・リンパ系への分化能を有することを確認した。

現在当社ではリードパイプラインとして小児希少血液疾患（再生不良性貧血、重症複合免疫不全、鎌状赤血球症等）を対象とした同種さい帯血由来の次世代移植製品の開発を米国で進めている。細胞培養に用いるISOグレードの培地は24年中の開発を予定しており、また原材料であるさい帯血（研究用および臨床グレード）は、米国さい帯血バンクからの入手経路を確立済である。現在は、さい帯血由来細胞製品の製造プロセス開発（さい帯血からのCD34+細胞の分取、増幅、凍結プロセス等）を米国CDMOと進めており、2026年にGLP安全性試験・IND申請を米国で実施し、2027年にPhase1/2試験を行う予定である。

生着を目的としたHSCの移植製品の開発と平行して、当社では増幅HSCを用いた再生医療（血管新生）への応用を目指したいくつかの共同研究を始めている。2022年は濱崎孝史教授（大阪公立大学大学院医学研究科 発達小児医学）のチームとの共同研究、2024年には田口明彦部長（神戸医療産業都市推進機構 脳循環代謝研究部）のチームとの共同研究を開始し、増幅HSCの血管新生に対する基礎的データを得つつある。今後は増幅HSCによる虚血性脳疾患等に対する血管新生の有効性の検証・非臨床データ取得を進め、同種さい帯血由来の再生医療等製品の国内及びグローバルでの開発を目指す。