iPS 細胞の DDS への応用

特集によせて

FOREWORD

東京大学 医科学研究所 幹細胞治療研究センター 再生医学分野

谷口英樹*

ヒト iPS 細胞を用いた臨床開発が、さまざまな問題点を解決しながら継続的に推進されている。網膜疾患・心疾患・神経疾患・血液疾患に対する臨床試験がすでに開始され、主として安全性評価が行われている状況にある。今後、これらのシーズの一部は有効性評価に移行していくものと思われる。さらに、悪性疾患・肝疾患・軟骨疾患等に対する臨床試験についても実施準備が進んでおり、安全性評価を目的とした試験開始が視野に入ってきている。

本稿は、日本 DDS 学会機関誌の特集である。釈迦に説法であるが、DDS (Drug Delivery System) とは、薬効成分を疾患患部に有効に送達することを目的とした手法のことを指すと理解している。このような観点から再生医療等製品をみると、疾患治療のための機能性タンパク質の送達を目標とした細胞投与という治療概念を基盤とする開発が多いことに気がつく。すなわち、再生医療等製品の少なくとも一部は、細胞をキャリアとする機能性タンパク質の効果的な送達方法の開発であると捉えることも可能である。

DDS という視点からみた「細胞」の優位性は、センシング機能を有していることから量的・時間的に適切な機能性タンパク質の分泌を達成できる可能性があること、患部局所に長期間にわたり生着することにより継続的な機能性タンパク質の送達を実現化できる可能性があること、細胞増殖により機能性タンパク質の分泌量を投与後に増大させることが可能であること、遺伝子操作により機能性タンパク質の質や量を人為的に強化できる可能性があることなど多岐にわたる。さらに、最近では複数種類の細胞種から構成されたオルガノイド (Organoid) という新概念も登場してきており、細胞間相互作用を介した機能性タンパク質の機能発現の適切性が格段に向上しつつある。また、このオルガノイドという新概念により、複数種類の細胞から構成される組織構造そのものを患部にデリバリーすることも可能となっており、単純な「細胞機能」の送達から、「組織機能」の送達へと画期的な概念展開が目指されつつあるといえる。

本特集では、疾患治療に有益な機能性タンパク質の送達による治療法開発を目指している複数の再生医療プログラムを紹介する。具体的には、ドーパミン送達、インスリン送達、ホルモン送達、酵素送達などを目標とする再生医療技術について現況を紹介する。再生医療開発においては、機能性タンパク質の送達を目標とする魅力的な開発プログラムが他にも存在するのであるが、企業開発等の視点から今回は紹介できない開発シーズもあることを追記しておく。そのため、DDS と関連性の深い薬剤開発に有益なヒト iPS 細胞研究、特に薬物動態試験等に広く使用されることが期待されているヒト腸管上皮細胞の iPS 細胞を活用した調製方法について、DDS 学会員の方々に有益な情報ではないかと考えたため、特別に追加的にご寄稿いただいた。ご多忙中にご無理をいって執筆くださった先生方には、この場を借りて深謝いたします。

*Hideki Taniguchi : Application of iPS cells of DDS

Division of Regenerative Medicine, Center for Stem Cell Biology and Regenerative Medicine,
The Institute of Medical Science, The University of Tokyo