

アカデミア発のバイオベンチャーで最先端医療の実用化を目指す

小泉 範子 医工学科 教授



教員の横顔 ————— Noriko Koizumi

眼科医として大学病院などで患者の診療を行うクリニシャン・サイエンティスト。大学発ベンチャーを立ち上げ、角膜疾患に対する新しい治療法の実用化を目指す。「同志社の学生はとても優秀です。研究室の仲間と助け合い、困難な課題を解決する経験を通じて大きく成長します。卒業後も、社会を変革する力を持った人になってほしい」と語る。

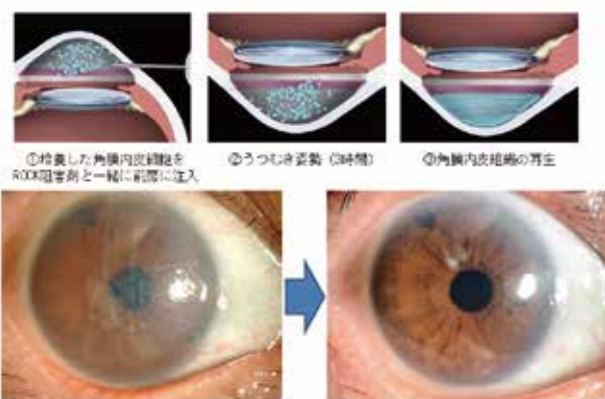


研究室紹介動画

再生医療を社会に届ける 角膜失明の患者さんに希望の光を

2003年に同志社大学に着任して以来、角膜再生医療の研究に取り組んできた小泉範子教授。培養が難しいとされてきた、ヒト角膜内皮細胞について、Rhoキナーゼ (ROCK) 阻害剤という化合物が細胞の接着と増殖を促進することを発見。培養した角膜内皮細胞とROCK阻害剤と一緒に角膜の裏側に注入移植することで、水疱性角膜症を治療する世界初の再生医療技術を確認しました。同志社で開発した技術を用いて、母校の京都府立医科大学において2013年に細胞注入治療の臨床研究を開始、2018年までに38例の患者さんの治療を臨床研究として行いました。水疱性角膜症のためにほとんど見えなかった患者さんの視力が、1.0程度に回復するなど有効性と安全性が確認できたといいます。

Rhoキナーゼ (ROCK) 阻害剤を用いた細胞注入治療



治療前には白濁していた角膜が、細胞注入治療により透明に、視力も0.04から1.0に回復。

「私たちの研究室では、研究成果を学会や論文で発表するだけでなく、新しい医療として社会に届けることを目指しています」。眼科医として今も医療現場で患者さんと向き合う中で、小泉教授はさらにその思いを強くしたといいます。2018年5月、奥村直毅教授 (医工学科) と一緒に立ち上げたのが、同志社大学発ベンチャー「アクチュアライズ」です。

大学で生まれたシーズを社会に広く届けるためには、いくつもの障壁を乗り越えなければなりません。新たな医療を創出するスタートアップとして、様々な分野の専門家の協力を得ながら、「同志社大学発の医療技術の実用化を目指していきます」と意気込みを示します。

保存や輸送が可能な凍結製剤の開発 Ready-to-Useの製品づくり

再生医療に用いる角膜内皮細胞は、臨床用の特殊な施設で培養する必要があるため、シェルフライフ (品質保持期間) が極めて短く、医師が手術に用いるまでには熟練した技術者による様々な細胞の処理が必要です。再生医療を多くの患者さんに届けるためには、保存や輸送が可能ですぐに使えるReady-to-Useの製品開発が必須課題でした。

小泉教授らの研究室では、フラスコから剝離した角膜内皮細胞をROCK阻害剤と一緒に凍結することに成功。これは、凍らせると死んでしまうと考えられていた

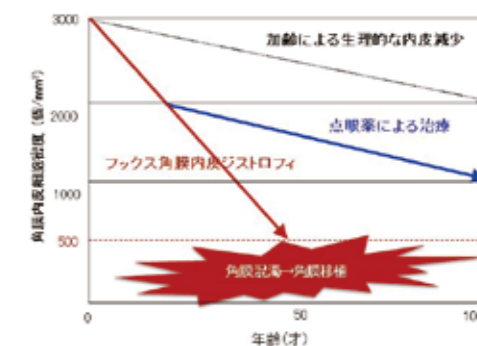
角膜内皮細胞を凍結保存できる画期的な技術です。また、患者さんの目に注入しても安全な凍結保存液を使用することによって、解凍するだけですぐに移植に使えるのが大きな特徴です。凍結保存が可能になったことにより、細胞のシェルフライフが大きく延び、企業の生産拠点から世界中に、必要に応じて迅速に製品を届けることが可能になります。

現在、アクチュアライズでは、バイアルに入った凍結製剤の上市に向けた取組を行っており、日本と中国での治験を準備しています。「世界的にドナー角膜は不足しており、70人に1人しか角膜移植を受けることができません。これらの角膜失明の患者さんに再生医療で光を取り戻していただくことが目標です」と小泉教授。

手術がいない夢の治療 世界初の角膜内皮治療薬の開発に挑む

もう一つの取組は、フックス角膜内皮ジストロフィを治療する点眼薬の開発です。世界の角膜移植の4割を占めるほど患者数が多い病気ですが、角膜移植以外に治療法がないアンメット・メディカル・ニーズです。小泉教授らが治療薬の候補となる化合物のスクリーニングを行ったところ、mTOR阻害剤 (シロリムス) が角膜内皮の細胞死や異常なタンパク質の産生を抑える効果があることが分かりました。早期の患者さんにシロリムスを点眼薬として投与することで、角膜内皮障害の進行を

フックス角膜内皮ジストロフィに対する薬物治療のコンセプト



角膜内皮細胞密度が約500個/mm²以下になると角膜が濁って角膜移植が必要。早期に診断し点眼治療を行うことで、生涯にわたって良好な視力を維持できる。

予防し、生涯にわたって角膜移植を行うことなく良好な視力を維持できる可能性があります。

シロリムスは、世界で初めてのフックス治療薬となる可能性があり、すでにアクチュアライズと製薬企業が共同で、米国、フランス、インドの3か国で治験を開始しています。点眼薬の開発には、研究室で樹立した疾患モデル細胞を用いた基礎研究や、疾患モデルマウスを用いた非臨床研究の成果が基盤になっています。これまで多くの学生が日々研究に取り組み、また海外の研究機関や企業との共同研究に参加することで、このプロジェクトを推進してきました。

同志社大学に生命医科学部が開設されて15年を迎えます。「角膜疾患の患者さんに希望の光を届けたい」という信念を持ち、学生と一緒に最先端研究に取り組んできた小泉教授。細胞注入治療と点眼薬の実用化で、今まさにその夢を叶えようとしています。