

管理番号 20

## 研究内容の説明文

献血者説明用課題名※ (括弧内は公募申請課題名)	HLA クラス I 欠失ユニバーサル血小板の産業化導出に向けた研究開発 ( iPS 細胞由来の HLA クラス I 欠失巨核球細胞ストック及び血小板産生に関する研究)
研究期間 (西暦)	2019 年度～2026 年度
研究機関名	国立大学法人京都大学 iPS 細胞研究所
研究責任者職氏名	教授 江藤 浩之

※理解しやすく、平易な文言を使用した課題名

## 研究の説明

## 1 研究の目的・意義・予測される研究の成果等

血小板は、私たちの血液に含まれている細胞で、血管が傷ついた時、血液を固め出血を防ぐ働きを担う極めて重要な細胞で、母細胞である巨核球から作られます。様々な原因で血小板が減少し、止血機能が保てなくなった患者さんには献血された血小板を輸血する治療法が基本です。しかし、血小板の表面にはヒト白血球型抗原クラス I (HLA-I) \*が発現していますが、時々、他人の HLA-I に反応する抗体が作られ、その抗体が反応する HLA の血小板は拒絶されてしまい、輸血しても効果がない状態 (血小板輸血不応症と呼ばれます) になることがあります。この様な方への血小板輸血は、患者が持つ HLA 抗体と交差しない HLA-I に限られるため、必要な時に供給されないリスクが高くなります。さらに HLA-I には非常に多くのタイプがあるため、すべてのタイプの HLA-I をそろえるためには、極めて多くのドナーを確保することが必要となります。この様な状況から iPS 細胞技術と細胞の遺伝子を改編する技術 (ゲノム編集技術) を応用し、HLA-I を欠失した血小板を製造することにより、全ての HLA-I タイプの患者に適合する新規な血小板を供給することを目的としています。

\* : HLA クラス I (HLA-I)

HLA はヒト白血球型抗原 (Human Leukocyte Antigen) の略で、免疫システムは自己と異なる HLA に対して強く反応します。HLA の型は非常に多様で、数万通りの組み合わせがあります。細胞や組織が移植されて起こる拒絶反応の最大の要因は、HLA の型が異なっていることによります。

## 2 使用する献血血液の種類・情報の項目

献血血液等の種類 : 血漿 (規格外)、血小板 (規格外)

献血血液等の情報 : なし

## 3 献血血液を使用する共同研究機関及びその研究責任者氏名

東京慈恵会医科大学

研究責任者 : 木田 康太郎

シミックファーマサイエンス株式会社

研究責任者 : 金納 明宏

ミナリスアドバンスセラピーズ株式会社

研究責任者 : 村本 拓也

## 4 研究方法《献血血液の具体的な使用目的・使用方法含む》

献血血液のヒト遺伝子解析 : 行いません。 行います。

《研究方法》

江藤研究室では、iPS 細胞から誘導して、増殖可能にした巨核球（巨核球株）から血小板（iPS 血小板と云う）を製造しています。そこで、ゲノム編集技術により HLA-I の遺伝子の一部ないしは全部を欠失させます。そして、欠失させた巨核球株から、血小板（iPS 血小板と云う）の放出機構の解明や産生効率を向上させる添加物の探索、製造条件の至適化等の研究を行います（ミナリスアドバンスセラピーズ株式会社も一部研究）。製造条件の至適化の検討には献血由来のヒト血漿を用います。また、産生される iPS 血小板及び HLA-I 欠失 iPS 血小板の機能や品質評価、特性解析は、献血由来の血小板を対照にして検証します（東京慈恵会医科大学、シミックファーマサイエンス株式会社でも検証）。

- 5 献血血液の使用への同意の撤回について  
研究に使用される前で、個人の特定ができる状態であれば同意の撤回が出来ます。
- 6 上記 5 を受け付ける方法  
「献血の同意説明書」の添付資料の記載にしたがって連絡をお願いします。

受付番号	R030030
------	---------

本研究に関する問い合わせ先

所属	京都大学 iPS 細胞研究所
担当者	国際広報室
電話	075-366-7005
Mail	ips-contact@cira.kyoto-u.ac.jp