

事業名

体外増幅造血幹細胞の非臨床POC確立

事業実施期間

令和4年4月1日～令和5年3月31日

補助対象経費及び補助金額（実績額）

9,075,990円 / 5,000,000円

（企業・法人名）

セレイドセラピューティクス株式会社

1. 事業の内容

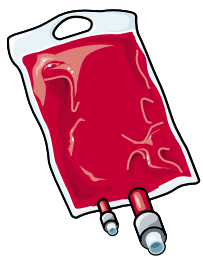
本事業の目的

セレイドセラピューティクス社のヒト造血幹細胞増幅技術における非臨床POC(Proof of Concept)をモデルマウスで証明すること

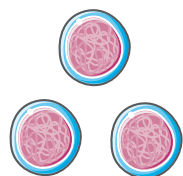
研究概要

- 凍結さい帯血からヒト造血幹細胞を分離
- 当社独自の培地でex vivo増幅培養
- モデルマウス（骨髄破壊された免疫不全マウス）に移植、骨髄再構築能を検証

凍結さい帯血



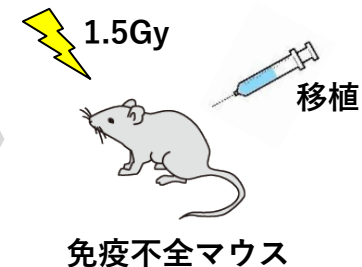
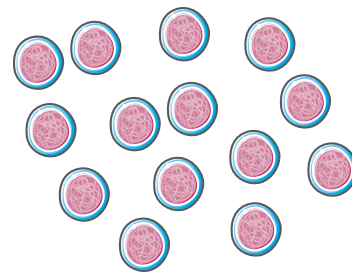
ヒト造血幹細胞



独自培地で培養



増幅したヒト造血幹細胞

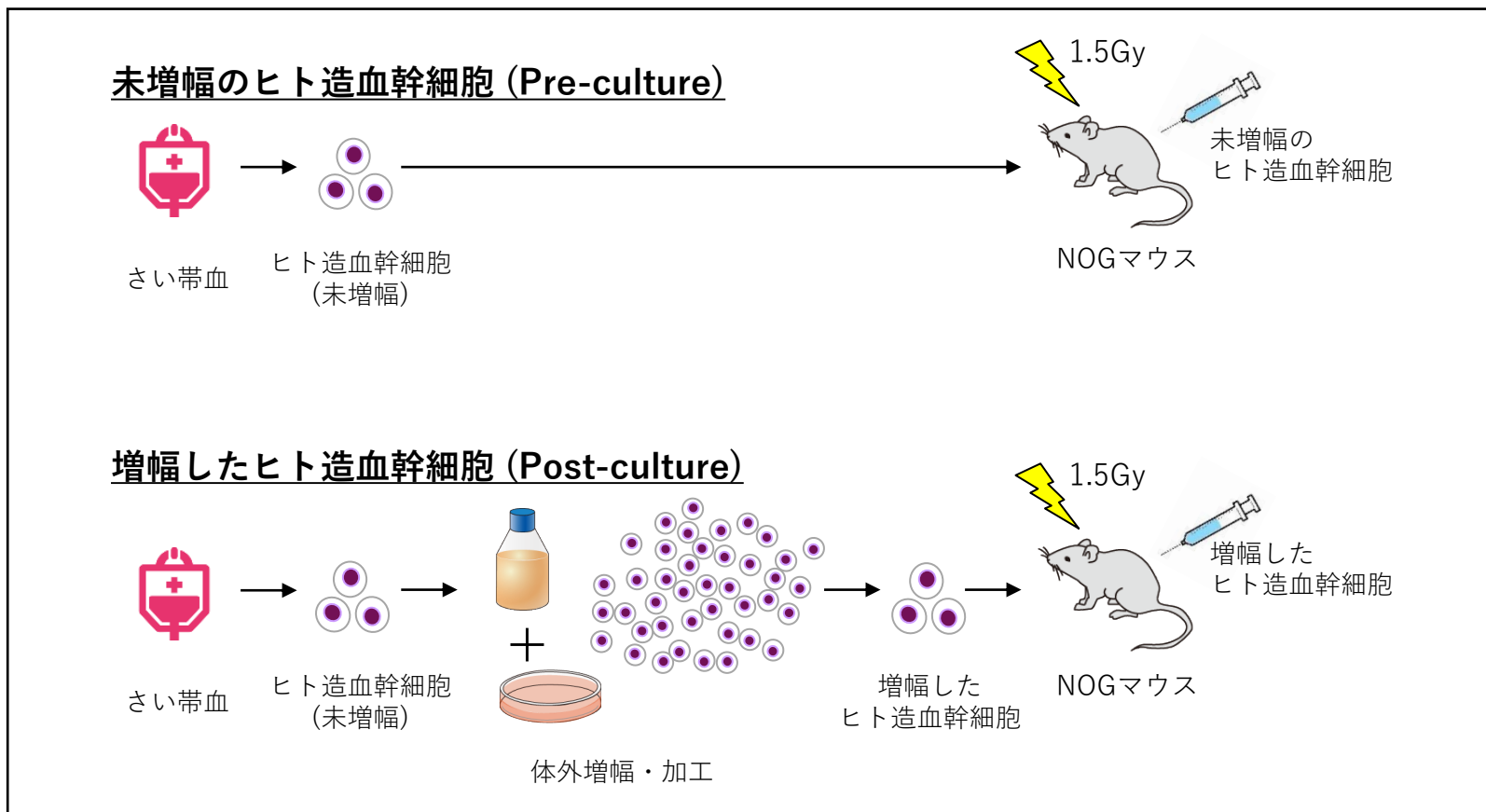


2. 目的達成状況

① 投与条件・解析方法を検討するための予備試験（自社ラボ）

委託先での大規模な非臨床POC試験を実施するにあたり、モデルマウス作製法、投与条件、解析方法などを検討するべく、自社ラボにて小規模な移植実験を実施（2022年4月～9月）

【結果】 移植後12週間後に、増幅したヒト造血幹細胞がマウスに生着していることを確認できた



2. 目的達成状況

② 用量設定試験

<目的・概要>

モデルマウスへの移植試験（非臨床POC試験）に先立ち、委託先で自社ラボの実験結果を再現検証し、本試験のデザインを決めるための最適用量範囲を設定する。

<期間> 2022年8月～2023年5月

<結果>

- モデルマウスへのヒト造血幹細胞移植に関する用量設定試験は順調に進捗。
- 移植後3か月時点、設定した用量において、モデルマウスの末梢血でのヒト成熟細胞の生着を確認。
- 上記結果から、大規模モデルマウスへの移植実験（非臨床POC試験）の開始を決定（2022年12月）。

③ 非臨床POC試験

<目的・概要>

大規模なモデルマウスへの移植実験（非臨床POC試験）で、自社パイプラインの臨床向け製造工程開発に進むために必須の試験。

<期間> 2022年11月～2023年7月

<結果>

- 12月に実施した120匹のモデルマウスへの移植は成功。速報レベルではあるがマウスの末梢血においてヒト造血幹細胞由来のヒト成熟細胞を確認（2023年3月末）。
- 移植後5か月のマウスの剖検後骨髄データを解析した結果、当社増幅グループにおいて、増幅前グループ、競合技術グループを上回るヒト造血幹細胞の生着能を確認できた（2023年7月）

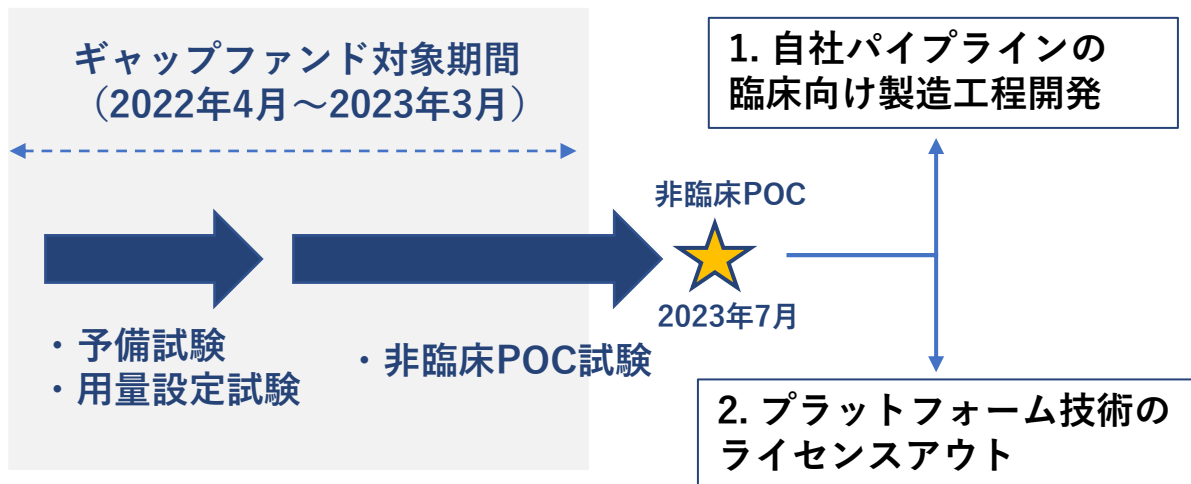
3. 期待される効果／神戸医療産業都市の発展に与える効果

期待される効果

本事業を通じて、非臨床POCを確立することで、

1. 自社パイプラインの製造工程開発
2. プラットフォーム技術（ヒト造血幹細胞の増幅技術）のライセンスアウト

の2つの活動が可能となる。



神戸医療産業都市の発展に与える効果

神戸医療産業都市の各方面との豊富な繋がりを通じて、医療・バイオ関連企業、研究機関、ベンチャーキャピタル等との関係構築を図り、新たな協業・協働の機会を見つけ、神戸医療産業都市の発展に寄与していく。

■事例 1

2022年7月に国際医療開発センター（IMDA）のオフィスに入居。神戸を中心とした関西に拠点を持つ企業との関係構築を開始。エグゼクティブ・コーディネーター・スタートアップグループリーダーの野口 毅氏の紹介により、数社と商談済。

■事例 2

KBIC所属の他企業やアカデミアとの協業のきっかけにもつながると期待（すでに複数の商談機会にも繋がった実績あり）。



■今後の可能性

現在、先天的免疫不全症や血液系の希少疾患などでコラボレーションの機会を探索中（たとえば、KBICに集積する兵庫県立こども病院を含む高度専門病院群とは小児疾患や希少疾患の分野でのコラボレーションが可能であると期待）。

4. 今後の展開（非臨床POC取得後）

- 他家・移植製品として、アンメットニーズが高い小児・難治性希少疾患の開発を優先し、低コストで早期承認を目指す
- 第2・3のパイプラインとして、市場規模が大きくかつ小児疾患の開発ノウハウが活用可能な急性白血病や、自家・移植製品として多発性骨髄腫を対象とした細胞治療製品の開発を目指す

当社のパイプライン一覧

開発コード パイプライン	対象疾患	Discovery			IND-enabling				Clinical	他家製品	自家製品
		基盤技術 研究	In vitro POC	In vivo POC	製造工程 開発	GMP 製造	GLP 安全性	IND	P1/2	パートナー/共同研究	
CLD-001 他家・造血幹細胞移植	小児・難治性希少疾患	→				→				リードパイプライン	自社
Other-001 他家・造血幹細胞移植	急性白血病	→									 筑波大学
Other-002 自家・造血幹細胞移植	多発性骨髄腫	→									 国立がん研究センター