

(添付資料1)

## 倫理審査委員会における審査過程及び結果

(1) 倫理審査委員会の名称

国立研究開発法人国立成育医療研究センターヒト ES 細胞研究倫理審査委員会

(2) 倫理審査委員会の構成

	氏名	性別	法人の内・外	専門等*
◎	神里彩子	女	内	人文・社会科学
	石野史敏	男	外	自然科学
	福島慎吾	男	外	一般
	丸山英二	男	外	人文・社会科学
	水留正流	男	外	人文・社会科学
	渡辺央美	女	外	自然科学
	中村明枝	女	内	自然科学

◎：委員長

計7名

※専門等には、「自然科学」、「人文・社会科学」、「一般」のいずれかを記載してください。

(2) 審査結果の概要

令和8年1月26日、使用機関の長の依頼を受け、使用計画変更「ヒト ES 細胞の大量培養の検討、及びヒト ES 細胞由来骨格筋衛星細胞を用いた再生医療のための品質・非臨床有効性・安全性に関する基盤研究」の指針適合性について審査を実施した。申請者（使用責任者）からの研究概要の説明に続いて、以下の事前意見に対する申請者回答の確認及び質疑応答があった。

<事前意見概要>

1. 変更2（使用の目的及びその意義の変更）はヒトES使用指針第4条第1項の要件を満たしているが、変更理由として「基礎の探索的研究の蓄積が進んでおり、その研究の意義が治験開始に向けた前臨床データの取得に移り変わりつつある。」とされている一方で、変更3（使用方法の変更）の内容は、遺伝

子改変ES細胞の改変遺伝子候補を拡大変更するものであり、探索的研究に近い内容に読み取れる。これまでの基礎の探索的研究結果を踏まえ、治験開始に向けた前臨床データパッケージの取得（使用の方法3.及び4.を含む）に軸を移しつつ、別途、探索的研究も継続して行う場合には、その旨が明確となるように修正すること。

2. 変更後の使用の方法は、研究の進展を踏まえ、医薬品等の開発に資する基礎的研究の内容を変更するものであり、変更方針は妥当であるが、一部変更内容が不明確な点があるため、以下の修正をすること。

✓ 変更理由、「しかし、基礎の探索的研究の蓄積が進んできており、取得したい実験データの取得が変わりつつある。」は、「しかし、基礎の探索的研究の蓄積が進んできており、取得したい実験データの内容が変わりつつある。」ではないか。また、取得したい実験データが探索的研究データと治験にむけた前臨床データパッケージの取得のいずれに該当するかが明確となるよう修正すること。

✓ 「2. 遺伝子改変 レンチウイルスベクター、アデノウイルスベクター、センダイウイルスベクター、PiggyBacベクター、PhiC31ベクターおよびそのカセット用プラスミドベクターや、エピソーマルベクター、mRNA等を用いて、骨格筋衛星細胞関連マーカー遺伝子及び/またはその他骨格筋の分化、形成、増殖等に関連する遺伝子やさまざまな成長因子、サイトカイン、抗体等の液性因子、免疫調節を行う遺伝子等の導入や欠失を行う。」との記載について、「および」と「その」がどこまで掛かるか分かりづらいため、「・・・ベクター、PhiC31ドナーベクター、エピ・・・」等に修正すること。また、抗体の遺伝子導入や欠失、とは具体的にどのような内容か明確にすること。

3. 「本研究において生殖細胞の作成、ヒト胚モデルの作成及び禁止事項に該当する研究は含まれない。」旨を追記すること。L
4. 現在の使用計画の「使用の方法」項、「3. 骨格筋衛星細胞またはその前駆細胞への分化」及び「4. 分化細胞の移植（前臨床動物試験）」の表中の内容について、分化細胞に関する詳細な記載は不要であるため、本計画変更のついでに表を削除し、評価項目を本文中に入れ込むこと。

#### <質疑応答>

1. 今回の変更申請により、Hyperion Drug Discoveryの代表者である嶽北氏が使用責任者から本来の使用機関の長の立場へ、本研究を実質動かしてきた大山氏が使用責任者に異動するということだが、本研究の実施体制はどのようになっているのか。

→ 本研究申請時は会社の規模が小さかったため、代表であっても研究に従事する

必要があったが、現在は会社の体制も整ってきたため、変更申請を行うこととした。

以上を踏まえ、委員会では、事前意見及び質疑に対する申請者の回答を踏まえた使用計画の変更内容が適切であると判断した。ただし、委員会の参考資料として、今回の変更内容を反映させた使用計画書（反映箇所を表示したものと非表示のもの）に加えて、研究の実施体制が変更となっているため、変更後の研究実施体制の詳細がわかる資料及び研究従事者の略歴書類を提出することを条件に承認することとした。

2. 後日、上記指摘事項について対応された資料の提出があり、委員長に確認したところ、問題ないとの回答が得られたため、令和8年3月9日付けで委員会として承認することとした。

3. なお、当該倫理審査委員会の構成委員に株式会社 Hyperion Drug Discovery に所属する者はいない。

氏名	杉若 剛（すぎわか つよし） / 宮澤 歩（みやざわ あゆみ）
部署名	企画経営部 研究医療課
電話番号	03-431-0181
E-mail	<a href="mailto:sugiwaka-tsu@ncchd.go.jp">sugiwaka-tsu@ncchd.go.jp</a> / <a href="mailto:miyazawa-a@ncchd.go.jp">miyazawa-a@ncchd.go.jp</a>

