

トランスジェニック幹細胞を使用した ヒト全表皮の再生

Hirsch T, Rothoef T, Teig N, et al.
Regeneration of the entire human epidermis using transgenic stem cells.
Nature. 2017 ; 551 : 327-32.

2017年10月、ローマのシンポジウムでこの論文のラストオーサー Pellegrini 教授とご一緒した際にこの内容を聞いた。Pellegrini 教授は早くから皮膚の再生医療に取り組み、以前から接合部型表皮水泡症 (JEB) 患者の部分的な治療は数例行ってきたが、今回の発表は全表皮を再生させ治癒させたというものである。全身火傷のような状態で、耐えられない疼痛のためずっと麻酔で眠っていた子供が、無菌室を出てVサインしている写真は感動的であった。

接合部型表皮水泡症は、基底膜の構成因子ラミニン332をコードする遺伝子の変異により引き起こされ、患者の皮膚や粘膜には慢性的な創傷が生じ、若くして皮膚がんを発生する。この論文は7歳男児に対して、患者自身の皮膚細胞に正常遺伝子を導入し培養増殖させ、男児の皮膚の80%を置換できたというものである。クローン追跡から、ヒト表皮が等しい能力をもつ前駆細胞によってではなく、ホロクローンとして検出される限られた数の長寿命な幹細胞によって維持されていること

がわかった。これらの幹細胞は *in vitro* と *in vivo* で大規模に自己再生して前駆細胞を生み出し、最終分化した角化細胞を補給することができる。この研究は幹細胞移植と *ex vivo* 遺伝子治療の組み合わせによる医学の勝利である。しかし、この素晴らしい治療を世界の患者全員に施すことができるのかどうか。再生医療は費用がかかる。

患者にとって必要な治療を採算が合うようにしてすべての患者を救えるようにするためには、開発コストを下げる必要がある。そのためにはルールの変更、医療開発の考え方のアップデートが必要であろう。世界で最も進んだ法律をもつ日本からその仕組みを発信することもできるかもしれない。患者の利益となる治療を行う企業が持続可能な仕組みづくり、および現在の再生医療学会と省庁、規制当局との連携を維持し、再生医療の仕組みづくりを続けていくことが肝要である。

理化学研究所 多細胞システム形成研究センター
高橋 政代