

## 【公開文書】

臨床研究「ヒト造血幹細胞の Ex vivo 増幅製法の樹立および応用研究」について

筑波大学医学医療系 生命科学域 幹細胞治療では、標題の臨床研究を実施しております。  
本研究の概要は以下のとおりです。

### ① 研究の目的

私たちが開発したヒト造血幹細胞の Ex vivo (生体外) 増幅法を活用することで、難治性造血器腫瘍・造血不全症のモデルを作成して発症メカニズムの解明に取り組みます。また、造血幹細胞移植の新規移植方法を確立します。

### ② 研究対象者

(1) 臍帯血バンク (兵庫さい帯血バンク、Cleveland Cord Blood Center、Cord For Life、日本赤十字社関東甲信越さい帯血バンク) に臍帯血を提供された方、あるいは(2) 研究「造血幹細胞移植片の幹細胞活性価および分子生物学的検討 (～2023 年 3 月 31 日)」に生体試料 (末梢血または臍帯血) をご提供いただいた方。

### ③ 研究期間：倫理審査委員会承認後～2027 年 3 月 31 日まで

試料・情報の利用及び提供を開始する日

当院で試料・情報の利用を開始する予定日及び外部への提供を開始する予定日は以下の通りです。

利用開始日：2022 年 05 月 16 日

提供開始日：2022 年 06 月 01 日

### ④ 研究の方法

臍帯血あるいは末梢血から CD34 陽性細胞を分離し、(1) ゲノム編集による疾患モデルの構築、あるいは(2) 新規移植方法の確立に用います。(1) 疾患モデルは健常人モデルと比較する形で(2) 新規移植方法の確立は Ex vivo 増幅前後の細胞を比較する形で、次の解析に供します：

#### 3-1. フローサイトメトリー解析と試験管内培養による造血能評価

幹細胞マーカー (CD38/CD90/CD49f/CD41/CD123 等) ・免疫細胞マーカー (CD4/CD8/CD19/CD25/FOXP3/CD44 等) の陽性率と試験管内での造血コロニー形成能で評価します。

#### 3-2. 異種移植実験による造血能評価

免疫不全マウスに対する移植実験による造血能評価を行います。

#### 3-3. 遺伝子・核型解析

DNA を抽出し全ゲノムシーケンスあるいはエクソームシーケンスを実施し、遺伝子変異を解析します。細胞の核型解析を実施し、培養による核型異常の有無を検証します。RNA

を抽出し、RT-PCR 法および 1 細胞 RNA シークエンスにより遺伝子発現解析を行います。

⑤ 試料・情報の項目（具体的に記載すること）

臍帯血あるいは末梢血に由来する血液細胞（ただし、研究「造血幹細胞移植片の幹細胞活性評価および分子生物学的検討」のためにご提供いただいた試料は 2 次利用の同意が得られたものに限ります）。

②に記載の研究用臍帯血を共同研究先（東京大学医科学研究所およびセレイドセラピューティクス株式会社）において培養した細胞も対象とします。

⑥ 試料・情報の第三者への提供について（該当する場合は記載）

該当せず。

⑦ 試料・情報の管理について責任を有する者

山崎 聡、筑波大学 医学医療系 生命科学域 幹細胞治療、教授

⑦ 研究機関名および研究責任者名

筑波大学（代表機関）、山崎 聡

セレイドセラピューティクス株式会社、荒川 信行

⑧ 本研究の企業等との関係

本研究に使用される材料等の一部はセレイドセラピューティクス株式会社より提供されます。また、本研究にセレイドセラピューティクス株式会社所属の共同研究者が参加します。本研究の代表機関責任者は、セレイドセラピューティクス株式会社と共同研究を実施して共同研究費を受け入れており、またセレイドセラピューティクス株式会社のエクイティを保有しており、利益相反状態にありますが、研究が公正に行われるように、外部のアドバイザーや共同研究者と協議しながら研究は遂行されます。

⑩ 本研究への参加を希望されない場合

患者さんやご家族（ご遺族）が本研究への参加を希望されず、試料・情報の利用又は提供の停止を希望される場合は、下記の問い合わせ先へご連絡ください。すでに研究結果が公表されている場合など、ご希望に添えない場合もございます。

⑪ 問い合わせ連絡先

筑波大学附属病院：〒305-8576 茨城県つくば市天久保 2-1-1

所属・担当者名：医学医療系 生命科学域 幹細胞治療・山崎 聡

電話：029-853-3287 FAX：029-853-3115 メール：y-sato4@md.tsukuba.ac.jp

（対応可能時間 平日 10～18 時）