

受付番号	R2023-0010
------	------------

ドナーへの情報開示と通知書類

研究の説明

研究タイトル	分化効率に関する iPSC 細胞ストックの評価
研究期間	2024 年 2 月 27 日から 2024 年 12 月 31 日まで
研究機関名	GC Therapeutics
研究責任者の氏名および 役職	Houssam Alost, Ph.D. Director of Process Development

この研究について

1.iPS 細胞株の目的と情報

GC Therapeutics 社は、厳選した人工多能性幹細胞 (iPSC) 株を評価し、GC Therapeutics 社独自の技術を用いた各細胞株の分化効率を測定したいと考えています。全体的な計画としては、(1) 入手材料の品質を評価すること、(2) 入手材料の分化効率を、入手可能な研究グレードの iPSC 株を用いて作製した内部陽性対照と比較して評価することです。GC セラピューティクスは当初、中枢神経系 (CNS) の疾患をターゲットとしている。

受入 iPSC 株の分化効率は、以下の論文に記載の方法で評価されます。

Nature Biotechnol.2021 April 01; 39(4) : 510-519. doi:10.1038/s41587-020-0742-6 by Alex H.M. Ng et al.

1. 増幅された iPSC は、誘導性プロモーターの制御下で選択された転写因子 (TFx) でトランスフェクトされる。
2. トランスフェクションの後、細胞培養は未トランスフェクション細胞を除去するための選択ステップを経る。
3. 選択された培養物/クローンは、その後、低分子誘導剤を用いた誘導工程を経る。
4. その後、最適レベルの TFx を発現するクローンを以下のパラメーターについて評価する：
 - a. 実行可能性
 - b. フローサイトメトリーによる目的遺伝子の細胞表面発現
 - c. ベクターコピー数 (VCN)
 - d. ゲノムの完全性

2.CiRA 財団から以下の情報が提供されます。

iPS 細胞株

インフォメーション

ドナー情報 HLA 型、感染症検査結果、性別、年齢、血液型など。

iPS 細胞情報：HLA タイプ、核型検査結果、遺伝子解析結果

3.iPS 細胞株等を使用する共同研究機関及びその研究代表者の氏名

なし - GC Therapeutics 社は、自社の施設で研究を実施する。

4.同意の撤回

研究への参加に同意した後でも、iPS 細胞が作製される前であれば、不利益を被ることなく同意を書面で撤回することができる。

iPS 細胞作製後に同意を撤回された場合、以後、外部の研究機関への提供はいたしません。ただし、提供された細胞が既に流通している場合は、引き続き使用される可能性があります。また、既に医薬品や治療法の開発が進んでいる場合は、患者さんへの影響を考慮し、こちらも継続させていただきます。何卒ご理解を賜りますようお願い申し上げます。

5.同意の撤回方法

同意を撤回される場合は、以下の連絡先をご利用ください。

[電話でのお問い合わせ] iPS 株ドナー専用ダイヤル 075-366-7181

[メールでのお問い合わせ] participant@cira-foundation.or.jp

営業時間平日 10:00-17:00

本調査に関するお問い合わせ先

所属	GC Therapeutics
担当者	Alex Ng, Ph.D. Chief Scientific Officer
住所	610 Main St Cambridge, MA 02139-3526 United States
電話	+1 (617) 943-6760
メール	alex@gc-tx.com

Reception number

R2023-0010

Information disclosure and notification documents for the donors

Explanation of the research

Research title	Evaluation of iPSC Cell Stock for Differentiation Efficiency
Research period	From 02/27/2024 to 12/31/2024
Name of research institution	GC Therapeutics
Name and title of principal investigator	Houssam Alost, Ph.D. Director of Process Development

About This Research

1. Purpose and information of the iPS cell stock

GC Therapeutics wishes to evaluate selected Induced Pluripotent Stem cell (iPSC) lines to determine the differentiation efficiency of each cell line using GC Therapeutics proprietary technology. Overall plan is to: (1) Evaluate the quality of incoming material and (2) Evaluate the differentiation efficiency of incoming material as compared to internal positive control generated using available research grade iPSC lines. GC Therapeutics is initially targeting diseases in the Central Nervous System (CNS).

The differentiation efficiency of the incoming iPSC lines will be evaluated as described in *Nature Biotechnol. 2021 April 01; 39(4): 510–519. doi:10.1038/s41587-020-0742-6* by Alex H.M. Ng et al.

1. Expanded iPSC will be transfected with selected transcription factor (TFx) under control of inducible promoter.
2. Following the transfection step, the cell culture will undergo a selection step to remove un-transfected cells.
3. The selected cultures/clones will then undergo an induction step using a small molecule inducer.
4. The clone expressing optimal level of TFx will then be assessed for the following parameters:
 - a. Viability
 - b. Cell surface expression of genes of interest by Flow Cytometry
 - c. Vector Copy Number (VCN)
 - d. Genome integrity

2. We will be provided with the following information by the CiRA Foundation

【Sample】

iPS cell stock

【Information】

Donor information: HLA type, infectious disease test results, gender, age, blood type, etc.

iPS cell information: HLA type, karyotype test results, and genetic analysis results

3. Name of Collaborating Research Organization and its Principal Investigator who will use the iPS cell stock, etc.

None - GC Therapeutics will execute the research study at its facility.

4. Withdrawing consent

Your consent can be withdrawn in writing without any disadvantage to you even after agreeing to participate in the research so long withdrawal comes before the iPS cells are produced.

If you withdraw your consent after your iPS cells have been generated, we will not provide your iPS cells to any outside research organization thereafter. However, if the cells you have provided are already distributed, they may continue to be used. In addition, if the development of drugs and therapies is already in progress, this too will continue due to the impact on patients. We ask for your understanding in this matter.

5. How to withdraw consent

Please use the contact information below if intending to withdraw consent.

[By phone] iPS stock donor dedicated number 075-366-7181

[By email] participant@cira-foundation.or.jp

Office Hours: Weekdays 10:00-17:00

For inquiries about this study, please contact

Affiliation	GC Therapeutics
Contact Person	Alex Ng, Ph.D. Chief Scientific Officer
Address	610 Main St Cambridge, MA 02139-3526 United States
Phone	+1 (617) 943-6760
Mail	alex@gc-tx.com