

平成 24 年 7 月 13 日

大阪大学医学部附属病院から変更申請のあった  
ヒト幹細胞臨床研究実施計画に係る意見について

ヒト幹細胞臨床研究に関する  
審査委員会

委員長 永井良三

大阪大学医学部附属病院から申請のあった下記のヒト幹細胞臨床研究実施計画について、本審査委員会で検討を行い、変更を了承いたしましたので報告いたします。

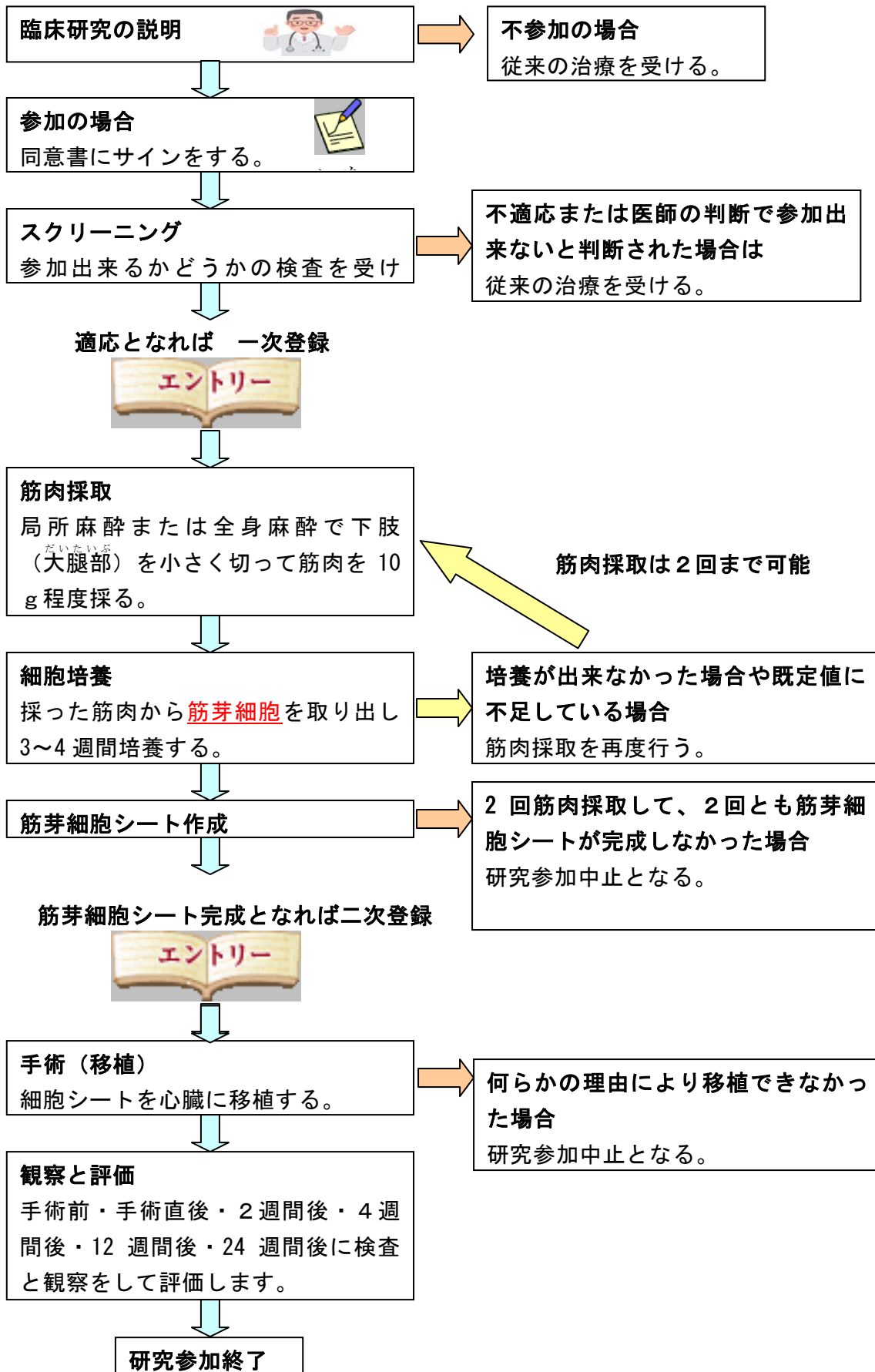
記

1. 重症心筋症に対する自己由来細胞シート移植による新たな治療法の開発  
申請者：大阪大学医学部附属病院 病院長 福澤 正洋  
申請日：平成 24 年 3 月 14 日


ヒト幹細胞臨床研究実施計画の概要 （大臣意見発出：平成 21 年 7 月 30 日）

研究課題名	重症心筋症に対する自己由来細胞シート移植による新たな治療法の開発
申請年月日	平成 20 年 12 月 25 日
実施施設及び研究責任者	実施施設：大阪大学医学部附属病院 研究責任者：澤 芳樹
対象疾患	重症心筋症（拡張型心筋症および虚血性心筋症）
ヒト幹細胞の種類	骨格筋筋芽細胞
実施期間及び対象症例数	登録期間 2 年間 目標症例数：DCM 症例 8 例及び ICM 症例 8 例
治療研究の概要	LVAS 装着を必要とする前段階、または年齢などにより心移植適応とならない重症心筋症患者に対し、自己の骨格筋から単離した筋芽細胞を、温度応答性培養皿を用いてシート化し、心臓外壁に移植する。
その他（外国での状況等）	注射針によって直接心臓に筋芽細胞を移植する方法は既にいくつかの海外施設で臨床試験が開始され、報告されている（米国 CAuAMIC Trial 23 症例、欧州 MAGIC Trial 67 症例など）。しかし、筋芽細胞をシート化して移植する方法についての報告はない。申請者により、LVAS 装着患者に対する筋芽細胞シート移植の臨床研究が、指針施行以前より開始され、現在進行中。
新規性について	本研究は、指針施行後でははじめて筋芽細胞シートによる臨床研究である。また、対象を「LVAS 装着を必要とする前段階、または年齢などにより心移植適応とならない重症心筋症患者」としている点で新規性がある。

# 臨床研究の流れ



## ヒト幹細胞臨床研究実施計画変更報告書


臨床研究の名称	重症心筋症に対する自己由来細胞シート移植による新たな治療法の開発
研究機関	
名称	大阪大学医学部附属病院
所在地	(〒 565 - 0871 )  大阪府吹田市山田丘2-15
連絡先    Tel/Fax	Tel: 06 - 6879 - 6551                      /Fax: 06 - 6879 - 6549
研究責任者	
役職	教授
氏名	澤 芳樹 
連絡先    Tel/Fax	Tel: 06 - 6879 - 3154                      /Fax: 06 - 6879 - 3163
E-mail	sawa @ surg1.med.osaka-u.ac.jp
変更時期	平成24年3月8日
変更内容	
実施計画書における事項	症例登録期間の延長
変更前	<p>要約:実施期間および対象症例数 症例登録期間を2年とし</p> <p>⑫研究の実施計画: 1.4 目標症例数と研究期間 2) 登録期間: 2年</p> <p>13.2. 研究期間 登録期間を2年、追跡期間を被験者ごとに培養骨格筋筋芽細胞シート移植術後24週又は研究の中止までとする。</p> <p>14.1. 目標症例数の設定根拠 —(中略)登録期間2年間で集積可能な被験者数は、DCM 症例、ICM 症例でおよそ8例程度と予想される。</p>
変更後	<p>要約:実施期間および対象症例数 症例登録期間を3年とし、</p> <p>⑫研究の実施計画: 1.4 目標症例数と研究期間 2) 登録期間: 3年</p> <p>13.2. 研究期間 登録期間を3年、追跡期間を被験者ごとに培養骨格筋筋芽細胞シート移植術後24週又は研究の中止までとする。</p> <p>14.1. 目標症例数の設定根拠 —(中略)登録期間3年間で集積可能な被験者数は、DCM 症例、ICM 症例でおよそ8例程度と予想される。</p>
変更理由	症例登録数の変更に伴い、現行の登録期間内で目標症例数を終了できない可能性があるため



ヒト幹細胞臨床研究実施計画変更報告書


平成 24年 3月 14日

厚生労働大臣 殿

研究機関	所在地	大阪府吹田市山田丘 2-15
	名称	大阪大学医学部附属病院
	研究機関の長 役職名・氏名	病院長 福澤 正洋 

下記のヒト幹細胞臨床研究について、別添のとおり変更事項を報告致します。

記

ヒト幹細胞臨床研究の課題名	研究責任者の所属・職・氏名
重症心筋症に対する自己由来細胞シート移植による新たな治療法の開発	大阪大学大学院医学系研究科 外科学講座 心臓血管外科学 教授 澤 芳樹 

## 要 約

項 目	内 容
研究課題	重症心筋症に対する自己由来細胞シート移植による新たな治療法の開発
総括責任者	澤 芳樹
対象疾患	拡張型心筋症，虚血性心筋症
ヒト幹細胞の種類	骨格筋筋芽細胞
実施期間および対象症例数	症例登録期間を <u>3</u> 年間とし，最終登録症例追跡完了までとする。 目標症例数は，拡張型心筋症 8 例，虚血性心筋症 8 例とする。
治療研究の概要	本研究の目的は，左室補助人工心臓(LVAS)装着を必要とする前段階または年齢などの条件で心移植適応とならない重症心筋症患者（上記参照）に対して，患者自身の骨格筋より単離した自己筋芽細胞を用いて作製した筋芽細胞シートを不全心に移植する治療法の安全性、効果及び実施可能性を評価することである。本研究の意義は，LVAS の装着や心移植を回避できる再生技術を確立し，重症心筋症患者の生活の質の向上および早期の社会復帰を実現することである。
その他（外国での状況や新規性について）	<p>注射針による筋芽細胞移植は，これまでにいくつかの海外施設で臨床試験が開始されているが，筋芽細胞をシート化して心臓に移植した報告はない。</p> <p>海外での注射針による筋芽細胞移植の臨床試験状況は，以下のとおり。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 米国第 I 相臨床試験：CAuSMIC Trial で 23 症例実施。 2007 年 11 月 American Heart Association (AHA) で報告。</li> <li>・ 欧州第 I 相臨床試験：MAGIC trial で 67 例実施。 2008 年 Circulation で報告。</li> </ul> <p>当院においては，LVAS 装着患者に対する筋芽細胞シート移植の臨床研究が、現在進行中である。</p>

<b>観察検査項目およびスケジュールの概要</b>	臨床症状の観察，血液検査・尿検査，十二誘導心電図，心臓超音波検査，胸部レントゲンについては移植前，移植直後，移植後 2，4，12，24 週に，ホルター心電図，心臓カテーテルについては移植後 4，12，24 週に評価を行う。
<b>主要評価項目および副次的評価項目</b>	主要評価項目は有害事象の有無，種類，重症度，安全度，発現頻度及び発現期間，副次評価項目は左室壁運動の経時変化，心拡大の経時変化，自己由来筋芽細胞シート移植術の実施及び完遂の可否とする。