

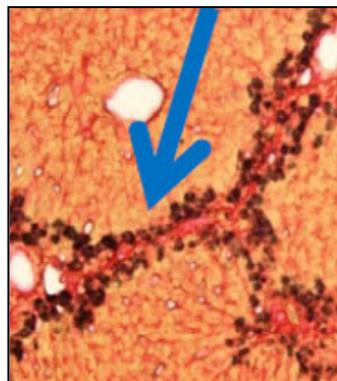
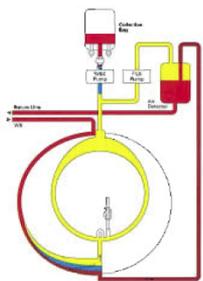
肝硬変症に対する自己骨髄細胞投与療法の概要



自己骨髄細胞採取(手術室)



血液成分分離装置を用いて
閉鎖回路内で単核球分画の
分離を施行



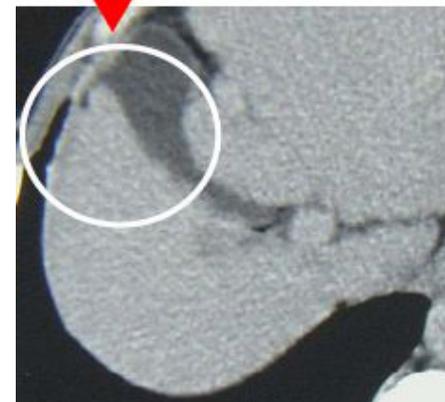
投与された細胞が
肝臓に定着
(写真はマウスでの実験結果)



同日中に
静脈から投与



肝線維化が改善



有効例の肝CT像の変化:
実施後(下)に腹水が減少し、
肝臓の形態も正常に
近付いた(山口大学)



薬事承認申請までのロードマップ

試験薬または機器：自己骨髄細胞投与療法
先進医療での適応疾患：肝硬変症

臨床研究

試験名：肝硬変患者に対する自己骨髄細胞投与療法の有効性と安全性に関する研究

試験デザイン：Phase-II

期間：2003年11月1日から

被験者数：19例(山口大学)

6例(山形大学)

結果の概要：

Stem Cells. 2006 Oct;24(10):2292-8.

Stem Cells Dev. 2011 Sep;20(9):1503-10.

先進医療

試験名：C型肝炎ウイルスに起因する肝硬変患者に対する自己骨髄細胞投与療法の有効性と安全性に関する研究

試験デザイン：多施設・ランダム化比較試験

期間：先進医療承認時から2015年3月31日まで

被験者数：34例

評価項目：細胞投与群は細胞投与後、標準的治療群は登録後24週の時点でChild-Pugh Scoreの1点以上改善する割合

使用機器：血液成分分離装置 ※

1)自己骨髄細胞投与療法

2)適応拡大
→細胞療法

薬事承認申請

当該先進医療における
選択基準

1. C型肝炎ウイルスに起因する肝硬変症例
2. 90日以上離れた2点において、Child-Pugh Scoreが7点(Child-Pugh B)以上の状態にあり、現行の内科的な治療法では改善が見込めない症例
3. 20歳以上75歳以下の症例 など

除外基準

1. C型肝炎ウイルス以外の原因で肝硬変へ至った症例、もしくは肝硬変へ至った原因が不明の症例
2. 悪性新生物を合併する、または既往を有する症例 など

予想される主な有害事象

- 骨髄液採取：穿刺部位疼痛、感染、出血 など
- 細胞投与：注射部位疼痛、発熱 など

※血液成分分離装置 コムテック

欧米での現状

- 薬事承認：
米国 **有**・無・申請中
→2006年9月承認(510(K)取得済)
- 欧州 **有**・無・申請中
→1999年7月にCE Mark取得
- ガイドライン記載：(有 **無**)
- 進行中の臨床試験：(有 **無**)

申請に至らなければ



先進医療制度下での新デザイン
の臨床研究又は治療の実施等を検討