

## 先進医療総括報告書（再評価）の指摘事項に対する回答1

先進医療技術名：角膜上皮幹細胞疲弊症に対する自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植の臨床試験（旧告示21）

2019年7月1日

所属・氏名：大阪大学・西田幸二

1. 補足資料により角膜輪部移植との比較は承知しました。角膜上皮幹細胞疲弊症に対しては、本先進医療で行われた自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植ではなく、角膜移植そのもの（輪部を含む）の方がそもそも有効なのではないかと考えます。ご見解をご教示ください。

## 【回答】

ご指摘いただいた「角膜移植そのもの（輪部を含む）」の角膜上皮幹細胞疲弊症における現在の標準治療は、「①他家輪部移植を実施し、角膜上皮の再生が得られた時点で、②角膜混濁が残存している場合は、中心部の角膜移植を実施する。」という二段階で行うものです。

角膜上皮幹細胞疲弊症の場合、仮に②だけを実施しても、幹細胞が移植されないため、角膜上皮の透明性が維持されないので（中心部に透明な実質を移植しても、結膜上皮で覆われてしまって視力は出ないため）、②だけを実施するという適応はございません。

ご指摘いただきましたように、角膜実質混濁を伴う角膜上皮幹細胞疲弊症に対しては、本先進医療で行われた「自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植」だけよりも、「①他家輪部移植を実施し、角膜上皮の再生が得られた時点で、②角膜混濁が残存している場合は、中心部の角膜移植を実施する。」というところまで実施した方が、一時的により良い視力が得られるという考えもあります。

しかしながら、本先進医療で行われた「自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植」は、「①他家輪部移植」の部分を、拒絶反応の起こりにくい自己培養細胞で置き換えることで、治療成績の向上を目指そうという医療技術でございまして、②の部分は、角膜移植における標準治療と全く同じと捉えていただいて差支えございません。なお②の治療が必要となるのは角膜上皮幹細胞疲弊症の中でも角膜実質混濁を伴う症例に限られます。

副次評価項目の「矯正視力」、「角膜混濁」、「角膜血管新生」は、本先進医療技術の①部分だけでなく、標準治療の②の効果も重なってしまいますので、前回のご評価でご指摘いただいた通り、本技術そのものの有効性の評価には、あまり適切な項目でなかったと思います。

主要評価項目としては、①部分だけの比較が可能となるよう、「結膜化がなく上皮欠損のない面積」という形で、角膜上皮の再生という観点における、本技術の有効性の評価を行うことを目的といたしました。

以上