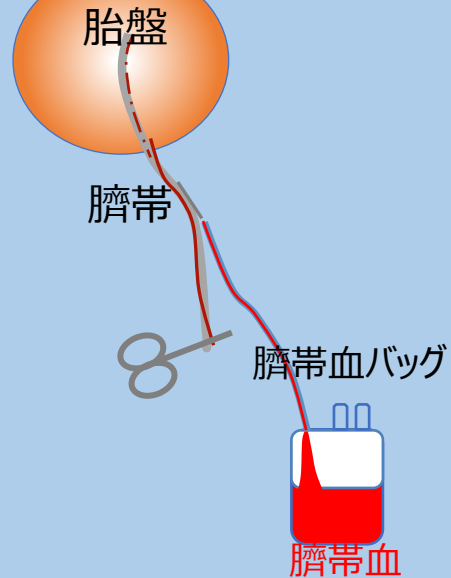


適応疾患 脳性麻痺

保管登録 (高知大学医学部附属病院)

①手術室／分娩室にて採血



②CPCにて細胞調製



③液体窒素下で保管



ステムセル社で保管

症例登録

④患児へ輸血



点滴投与

保険収載までのロードマップ

試験薬または試験機器：自家臍帯血由来有核細胞

先進医療での適応疾患：脳性麻痺

先行臨床研究

【小児脳性麻痺など脳障害に対する自家臍帯血単核球細胞輸血】

(jRCTb060190039)

- 試験デザイン：単群無対照オープン試験
- 期間：2016年12月～2021年6月
- 被験者数：6症例
- 結果の概要：有害事象は認めず、粗大運動能力尺度(GMFM)では全例4ポイント以上上昇し、4例はリハビリ単独の平均値を超える改善が得られた。効果は3年間維持されていた。

【参考】【小児脳性麻痺など脳障害に対する同胞間臍帯血有核細胞輸血】

(jRCTa060200018)

試験デザイン：単群無対照オープン試験

- 期間：2020年9月～進行中
- 被験者数：5症例(現在までに4症例)
- 結果の概要：5例中1例で投与後一過性に蕁麻疹が認められたがそれ以外の有害事象は認めていない。約1年の観察だが、4例全例でリハビリ単独の平均値を超える改善が得られた。

先進医療B

【脳性麻痺に対する自家臍帯血由来有核細胞輸血】

- 試験デザイン：単群非対照オープン試験
- 症例登録期間：5年
- 被験者数：12症例
- 対象：1歳以上7歳未満の脳性麻痺
- 主要評価項目：運動障害を輸血前後で評価
 - 運動障害（粗大運動能力尺度：GMFM）の輸血前6か月間と輸血後6か月間の変化（スコアの差）
- 副次評価項目：
 - 運動障害（GMFM）及び発達遅滞・知的障害（新版K式発達指数またはWISC-IV知能検査）のスコア変化
 - 頭部MRI画像の変化
 - DTI解析可能な症例は、左右の皮質脊髄路において神経（主には大脳脚、内包後脚）の比較をすることで変化を評価する
 - 運動障害（GMFM）・発達遅滞・知的障害及び頭部MRI画像の変化とCD45陽性細胞数（顆粒球を除く）との関連性
 - 有害事象の有無、有害事象の種類、出現頻度・時期

保険収載に至らない場合
新しい先進医療等を検討

保険
収
載

自家臍帯血由来
有核細胞輸血

当該先進医療における

選択基準：1歳以上7歳未満の脳性麻痺

除外基準：以下の基準に1つでも抵触する場合は除外とする。

- 1) 遺伝子疾患が確認された症例
- 2) 悪性腫瘍が確認された症例（ただし、頭蓋内腫瘍は、悪性良性問わず除外）
- 3) ステロイド・アルブミン製剤にアレルギー反応のある症例
- 4) 研究対象者または母親で感染症（B型肝炎、C型肝炎、HIV、HTLV-1、梅毒）が確認された症例
- 5) 特定細胞加工物の無菌検査（好気性菌、嫌気性菌、真菌）で陽性が認められた症例
- 6) 医師が不適格と判断した症例（コントロールされていないてんかん、免疫不全、肝臓・腎臓障害を含む）
- 7) 同意の得られない症例

予想される有害事象：特になし

欧米での現状

薬事承認：米国（無） 欧州（無）

ガイドライン記載：（無）

進行中の臨床試験（有）

→概要：第2相ランダム化二重盲検クロスオーバー試験で、
2×10の7乗個/kg以上投与群で優位にGMFMが改善した。
(Stem Cell Transl Med 2017;6; 2071-78)