

先進医療の内容 (概要)

先進医療の名称：培養自家口腔粘膜上皮シート移植

適応症：難治性角結膜疾患と診断された患者のうち、原疾患がスチーブンス・ジョンソン症候群、眼類天疱瘡、重症熱・化学腐食のいずれかであるもの

内容：

(先進性)

ステムセル疲弊症の治療には上皮移植を行う必要があるが、上皮移植は全層移植に比べて新鮮なドナーを要することからドナー眼が圧倒的に不足し、また全層移植よりも拒絶反応の発生率が高いという問題がある。しかも、難治性角結膜疾患は、角膜上皮移植の予後が極めて不良であり、視力改善のために有効な治療法がなかった。このように長年有効な治療法がなかった重症のステムセル疲弊症に対して、再生医学的手法を用いた新規治療法の開発が行われた。同種(allo)培養角膜上皮シート移植は、他に治療法のない急性期遷延性上皮欠損症例では上皮再建を、慢性期の視力障害患者では視力改善を得ることができたが、術後の拒絶反応のリスクがあるため、ステロイド薬や免疫抑制剤の投与を長期間行わねばならない。そこで患者自身の口腔粘膜細胞を用いる上皮シート作成に成功、世界に先駆けて自家(auto)培養口腔粘膜上皮シート移植を施行した。自家(auto)培養口腔粘膜上皮シートは移植術後に拒絶反応が生じないため、安定した術後の眼表面が得られている。さらに、培養角膜上皮移植では予後不良な角化や高度癒着を伴うステムセル疲弊症にも効果を示すことが明らかとなった。培養口腔粘膜上皮シート移植術が確立されることにより、重症のステムセル疲弊症に対する外科的再建術の可能性が広がった。

(概要)

被験者より採取した口腔粘膜組織を用いて、先端医療センターにて培養した、口腔粘膜上皮シートの移植により、角膜再建（視力改善、上皮修復）および結膜囊再建（癒着解除）を行う。主要評価項目は移植目的に対応して、①移植前から移植後 24 週の遠見（5m）視力の変化、②移植前から移植後 24 週の上皮異常総合スコア（上皮欠損、結膜侵入、血管侵入のスコア値の和）の変化、③移植前から移植後 24 週の眼科所見における結膜囊癒着スコア(上下の和)の変化とする。副次的評価項目を、結膜所見（角化、結膜充血、結膜囊癒着上・下）、角膜所見（眼球癒着、角化、上皮欠損、結膜侵入、血管侵入、角膜混濁）とする。

安全性評価は有害事象の発現頻度と重症度とする。

(効果)

角膜再建、結膜再建による眼表面の異常改善

(先進医療にかかる費用)

保険者負担 : 174,363 円

被保険者負担 : 2,447,727 円 (うち、先進医療にかかる費用 2,373,000 円)

合計 : 2,622,090 円

先進医療の実施計画

1. 先進医療技術の名称

培養自家口腔粘膜上皮シート移植

2-1. 使用する医薬品又は医療機器について

①使用する医療機器（未承認又は適応外のものから記載すること。）

医療機器名	製造販売業者名・び連絡先	型式	薬事法承認又は認証番号（16桁）	薬事法承認又は認証上の適応（注1）	薬事法上の適応外使用の該当（注2）

②使用する医療材料（ディスプレイザブル）及び医薬品

（未承認又は適応外のものから記載すること。）

品目名	製造販売業者名及び連絡先	規格	薬事法承認又は認証番号（16桁）	薬事法承認又は認証上の適応（注1）	薬事法上の適応外使用の該当（注2）
培養自家口腔粘膜上皮シート			薬事法未承認		
羊膜ロット			薬事法未承認		

③医療機器、医療材料又は医薬品が薬事法上の適応外使用に該当する場合の薬事法承認一部変更申請状況

医療機器名又は品目名	薬事法承認一部変更申請状況

④医療機器、医療材料又は医薬品が薬事法上の未承認又は適応外使用に該当する場合の使用
方法等

⑤未承認又は適応外の場合は、□にレと記載する。

□	当該医薬品・医療機器について、薬事承認の申請時及び取得時において、申請企業から情報提供がなされることとなっている。
---	---

注1) 薬事法承認又は認証上の使用目的、効能及び効果を記入すること。

注2) 薬事法において適応外使用に該当する場合は「適応外」、薬事法で承認された適応の範囲内の使用の場合は「適応内」と記載すること。

2-2. 海外での承認に関する情報

米国での薬事承認の状況

該当なし

欧州での薬事承認の状況

該当なし