

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109081h0003
研究開発課題名 : 小児重症拡張型心筋症への bridge-to-transplantation を目指した骨格筋芽細胞シートの実践
研究代表機関名 : 国立大学法人大阪大学
研究開発代表者名 : 澤芳樹

評価委員会のコメント :

○評価できる点、推進すべき点、研究事業にとって必要である理由

移植がほぼ不可能な状況を打破する試みとして非常に評価される。
小児の拡張型心筋症に対して、心移植以外に自己由来骨格筋芽細胞シート移植（ハートシート）という治療選択肢を提示する事が評価できる。
治験実施中。1例に投与している。
アカデミアからの提案であり、成人の心臓移植で日本をリードしてきた臨床研究者による開発研究である。
安定したスタディで今後の発展も期待できる。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

シート移植そのものについてはアウトリーチ活動が積極的に行われているようであるが、本研究は社会のニーズに応えるプロジェクトであるにも関わらず、アウトリーチ活動が十分とは思われない。（少なくとも記載がない。）
症例の確保に苦慮している。
そもそも承認済製品の市販後調査を完了できるのか疑問。
対照症例のリクルートに難渋しておられる。

以上