

総括研究報告書

1. 研究開発課題名：保険収載を目指した骨格筋筋芽細胞シート移植による心筋再生治療の実用化研究事業
2. 研究開発代表者：澤 芳樹（大阪大学）
3. 研究開発の成果：

今季、自己筋芽細胞シートは虚血性心筋症に対して条件付き期限付き承認を取得し、薬価も設定された。今後の市販後調査のための多施設研究の計画、及び大阪大学内での保険収載後のハートシート移植の実施に向けた体制も、今季に確立されている。

本 GCTP 基準を満たしたシートを医師主導型治験のもと、2 症例の拡張型心筋症に対して移植を行った。細胞の性質も良好であり、シート化も問題なかった。安全に 2 症例に移植することが可能であり、現在経過観察を行っている。臨床研究においては、今季、13 名に骨格筋採取を行い、9 例にシート移植を行った。いずれの患者も経過良好であり、現在経過観察を行っている。心不全患者より骨格筋を採取したが、所定の筋芽細胞数、純度の規定を達成することができない症例が見受けられた。特に、高度心不全のため、歩行をほとんど行っていない拡張型心筋症患者に多く認められた。今後心不全患者に対しては、術前から筋肉の増強運動、リハビリテーションを行う必要があるものと考えられる。筋芽細胞シートは全ての心不全患者に対して、有効であるとは限らず、これまでのデータをもとにどのような患者が筋芽細胞シートのレスポンドとなりうるか検証が必要である。これまでの患者データをもとに、リスク解析を行った結果、左室拡張末期径、病期期間が筋芽細胞シート治療の有効性に深く関与しており、今後適切な患者選択が必要であるものと思われる。また、今季、再生医療新法に適切すべく、実施計画書、患者説明書等の文書を改訂し、同書類を当局に申請し、受理、承認され、再生医療新法下において、筋芽細胞シートの臨床研究を行っている。医師主導型治験も計画書に従って遂行されており、データのモニタリングも適切に行われた。