

医療分野研究成果展開事業/研究成果最適展開支援プログラム (AMED・A-STEP)

平成 27 年度成果報告書 (公開)

研究開発担当者(企業)	クリングルファーマ株式会社・安達喜一
研究代表者	学校法人慶應義塾慶應義塾大学医学部整形外科・中村雅也
研究開発課題	組換え HGF 蛋白質による脊髄損傷治療薬

1. 研究開発の目的

本研究開発の目的は、根本的な治療法のない脊髄損傷 (SCI) 急性期に対し、組換えヒト HGF 蛋白質 (rhHGF) を有効成分とする脊髄損傷治療薬を開発することによって、患者の運動機能を回復させ生活の質を改善するとともに、介護者の負担を軽減することである。

2. 研究開発の概要

肝細胞増殖因子 (HGF) は、各種神経細胞の細胞死を抑制する活性に加え、神経再生を促進する活性を併せ持つ生理活性物質であり、神経系組織の傷害に対する保護や修復を支える役割を担う。私たちのグループは SCI モデル動物 (ラットおよびマーモセット) を作成し、rhHGF を脊髄腔内に投与した結果、SCI の二次損傷が抑制され、再生修復に伴い運動機能が劇的に回復することを見出した。

本研究開発の目標は、SCI 急性期を対象とする rhHGF の第 I / II 相試験を実施し、患者での安全性と有効性 (POC) を確認することである。これまでに、第 I / II 相試験の開始に必要な非臨床安全性試験ならびに治験薬製造を行った。また、先行して筋萎縮性側索硬化症 (ALS) を対象とする第 I 相試験を実施し、rhHGF の脊髄腔内投与での安全性と薬物動態を確認した。これらの成果に基づいて平成 26 年 6 月に SCI 急性期での第 I / II 相試験を開始し、現在も試験を継続している。

3. 研究開発の成果 (平成 27 年度)

SCI 急性期での第 I / II 相試験は、改良 Frankel 分類 A もしくは B1/B2 の頸髄損傷患者を対象とするプラセボ対照二重盲検群間比較試験である。SCI 急性期に HGF 実薬もしくはプラセボを脊髄腔内 bolus 投与し、その後 24 週間にわたり経過観察を行い運動機能の回復を評価する。本試験は、平成 26 年 6 月より北海道と九州の脊髄損傷専門病院 2 施設で患者組入れを開始した。平成 27 年度は患者組入れをさらに加速するために、治験実施医療機関を東京に 1 施設追加した。また、各地域の救急病院への周知活動の他、24 時間対応の「HGF 治験問合せセンター」(フリーダイヤル: 0120-50-7417) を開設して、医療関係者あるいは患者/家族からの治験に対する問い合わせに的確・迅速に対応する体制を強化し、組入れ可能な症例の発掘に努めた。