

脳出血に対する再生医療等製品 HUFF-01 の研究開発

～医師主導治験 RAINBOW-Hx 研究、第 1 例目の投与終了～

【ポイント】

- ・ 脳出血を患った患者さんは手足の麻痺や歩行障害などの機能障害を生じることが多いですが、機能を直接回復させる有効な治療法は現時点では存在しません。
- ・ 北海道大学病院脳神経外科（藤村 幹教授）の研究グループは、慢性期脳出血で手足の麻痺が後遺症として残った患者さんに対して、患者さん自身の骨髄から製造した再生医療等製品（HUFF-01）を脳内に投与する、医師主導治験※1（RAINBOW-Hx 研究）を開始しています。
- ・ 2024 年 5 月、北海道大学病院にて第 1 例目の患者さんに HUFF-01 の投与が行われました。投与手術後も経過順調であり、今後 1 年間、安全性と有効性に関して経過観察する予定です。
- ・ これから 2 年間に計 8 名の慢性期脳出血の患者さんに投与される予定です。

【研究の背景】

脳の血管が破れることによって生じる脳出血は、日本全国で 1 年間に約 5 万人が発症し、その約 70%が死亡もしくは後遺症を残す重篤な疾患です。患者さんは自身の身体的管理、就業、生活の質（QOL）などに大きなハンディキャップを抱えますが、手足の麻痺などの後遺症を治す治療は現在存在しません。その理由の一つとして「一旦傷害された脳神経組織を再生させる治療法」が確立していないことが上げられ、そのため現在の治療は「障害を可能な限り軽度でとどめる治療法」や「リハビリテーションによる機能回復」になりますが、その効果は満足できる状況ではないのが現状です。

このような状況の中で、近年の医学研究の進歩により「一旦傷害された脳神経組織を再生させる治療法」、つまり再生医療・細胞治療が可能となりつつあります。しかし、それが一般的な治療として社会に広く認められるためには、臨床試験として患者さんに投与して安全性と有効性を確認することが必要です。

【研究の概要】

脳の血管が破れることによって生じた脳出血の血腫（血液のかたまり）は、脳神経組織の中で数か月の間に吸収されますが、出血した際に生じた脳神経組織のダメージは残ります。血腫が吸収された後に出来た脳内の空隙（血腫腔とよびます）に HUFF-01 を投与することで、損傷を受けた脳神経組織の回復を促し後遺症が軽減されることが期待されます。

この臨床試験では、慢性期脳出血（発症から 1 年以上経過し、麻痺が残っている）の患者さんから自家骨髄間葉系幹細胞※2 を取得し、幹細胞の機能を向上させる足場材とあわせることで HUFF-01 を作成し、患者さんに投与します。HUFF-01 には北大発認定スタートアップの株式会社 RAINBOW (<https://www.rainbowinc.co.jp>) および富士フイルム株式会社の技術 (<https://labchem-wako.fujifilm.com/jp/siyaku-blog/018219.html>) が用いられています。

特徴としては、1) 患者本人から取得した幹細胞を用いることで免疫拒絶反応を避け長期の治療効果が見込めること、2) HUFF-01 では幹細胞の生存率などがより向上し、高い効果が期待できること、3) 脳ナビゲーションシステムと定位脳手術装置を用いることでより安全な手術が可能なおことです。

慢性期脳出血の患者さんに対して HUFF-01 を投与するのは世界初となります。

2024 年 5 月、北海道大学病院にて第 1 例目の患者さんに HUFF-01 の投与が行われました。投与手術後も経過順調であり、今後 1 年間、安全性と有効性に関して経過観察する予定です。また、これから 2 年間に計 8 名の慢性期脳出血の患者さんに投与される予定です。

【研究の意義】

この臨床試験は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) 「再生医療等実用化研究事業:JP23bk0104134」、「橋渡し拠点事業:JP23ym0126122」の支援を受け、HUFF-01 を将来の標準的な治療として認可させることを目指して行われています。HUFF-01 を用いた治療法が社会に広まることで、慢性期脳出血患者さんの QOL 向上に大きく貢献できる可能性があります。そして、北海道大学が世界をリードしているこの研究分野で、さらなる研究の進捗が大いに期待されます。

【用語説明】

※1 医師主導治験

希少疾患に対する新規の医薬品や、外国で承認されているが国内未承認あるいは適応外使用が一般的となっている医薬品や医療機器などについて、医師自らが実施する臨床試験のことです。これにより、その医薬品や医療機器の薬事承認を取得し、臨床の現場で適切に使えるようにすることが可能となります。

※2 自家骨髄間葉系幹細胞

患者さん自身の骨髄から得られた幹細胞で、損傷を受けた組織に投与することで栄養因子を分泌し修復を促すことや、神経などへの分化能を持つことが示唆されています。

お問い合わせ先

北海道大学病院脳神経外科 川堀 真人 (かわぼり まさひと)

T E L 011-706-5987 F A X 011-708-7737 メール kawabori@med.hokudai.ac.jp

配信元

北海道大学病院総務課総務係 (〒060-8648 札幌市北区北 14 条西 5 丁目)

T E L 011-706-7631 F A X 011-706-7627 メール pr_office@huhp.hokudai.ac.jp