

脊髄損傷患者に対する自家培養骨髄間葉系幹細胞の 静脈内投与による細胞療法の検討

札幌医科大学医学部 整形外科学講座 教授 山下 敏彦

脊髄再生医療

～脊髄損傷患者さんの機能回復をめざして～

研究の背景・目的

- 本研究は、脊髄損傷に伴う神経症候や機能障害の改善を目的に、自己培養骨髄間葉系幹細胞(STRO1)を医薬品(細胞生物製剤)として実用化することを目標に、医師主導治験(Phase II)を実施している。
- 再生医療分野で、被験薬(細胞製剤)を、アカデミアのCPCでGMP製造し、医薬品としての実用化を目指している。

開発試験物

自家骨髄間葉系幹細胞
(STRO1)

対象疾患

対象疾患は脊髄損傷である。

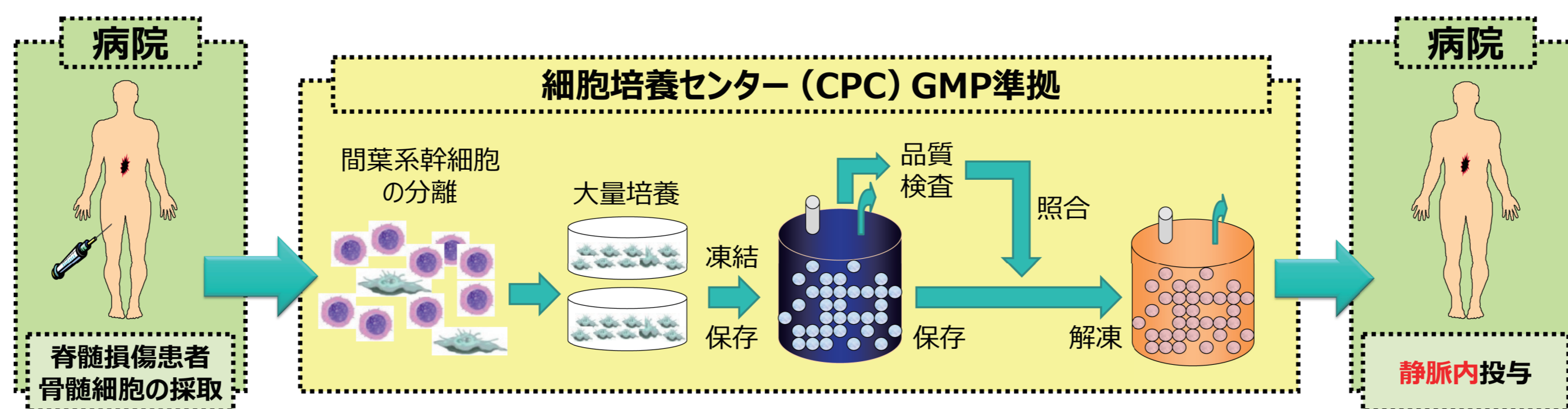
- (1)発症から14日以内
- (2)脊髄の主な損傷部位が頸髄
- (3)脊髄の部分的損傷
- (4)ASIA機能障害尺度のA～C
- (5)年齢が20～70歳

特徴

- 被験薬(自己培養骨髄間葉系幹細胞)は静脈内に投与する医薬品として開発する。
 - (1)剤型コード:“注射剤C1”
 - (2)薬効分類コード:“その他の生物学的製剤638”
 - (3)投与経路コード:“静脈内注射21”
- PMDA薬事戦略相談を受け、前臨床試験(GLP、non-GLP)を実施済。
- CPC(細胞プロセッシング施設)のGMP実地調査済。

製造および投与方法の概要

- ①脊髄損傷患者の腸骨から局所麻酔下で骨髄液を採取
- ②細胞調製施設(CPC)にて骨髄液から目的の細胞を分離し、約2週間で約1万倍に培養
- ③GMP管理下で約 1×10^8 個の細胞を約40mlのバッグに封入し細胞製剤を製造
- ④この細胞製剤を30分～1時間かけて静脈内投与により移植



出口に向けたロードマップ

平成26年1月より、医師主導治験(Phase II、非盲検試験、探索的試験)を実施中である。

	H25	H26	H27	H28	H29	H30	H31
品質関連事項 PMDAによる実地調査 細胞培養員の雇用・教育	済(H24)						
非臨床試験関連事項 薬効・薬理試験 安全性試験等	済(H24) 済(H24)						
臨床試験関連事項 治験実施戦略策定 プロトコル作成 治験実施	済 済				Phase III用 Phase III	Phase III	
規制当局対応事項 治験相談/治験届提出 治験審査委員会等	済 済						
事業性関連事項 特許性 企業交渉等 承認申請・保険収載							★