

# 脳梗塞と脊髄損傷の再生治療

—自己治癒力の最大利用による健康寿命延長—

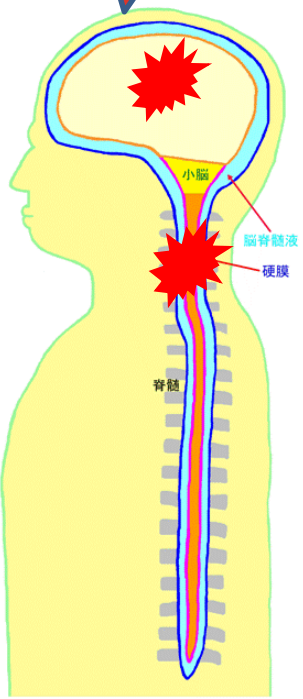
—自己治癒力の最大利用による健康寿命延長—

札幌医科大学 神経再生医療科

本望 修

# 脳梗塞・脊髄損傷の治療

- 運動障害
- 感覚障害
- 高次脳機能障害
- 膀胱直腸障害
- 心肺機能障害
- ⋮

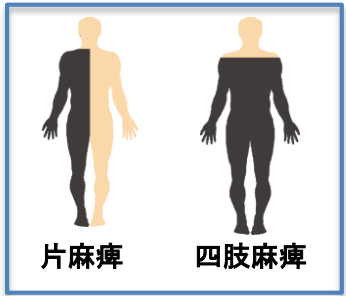
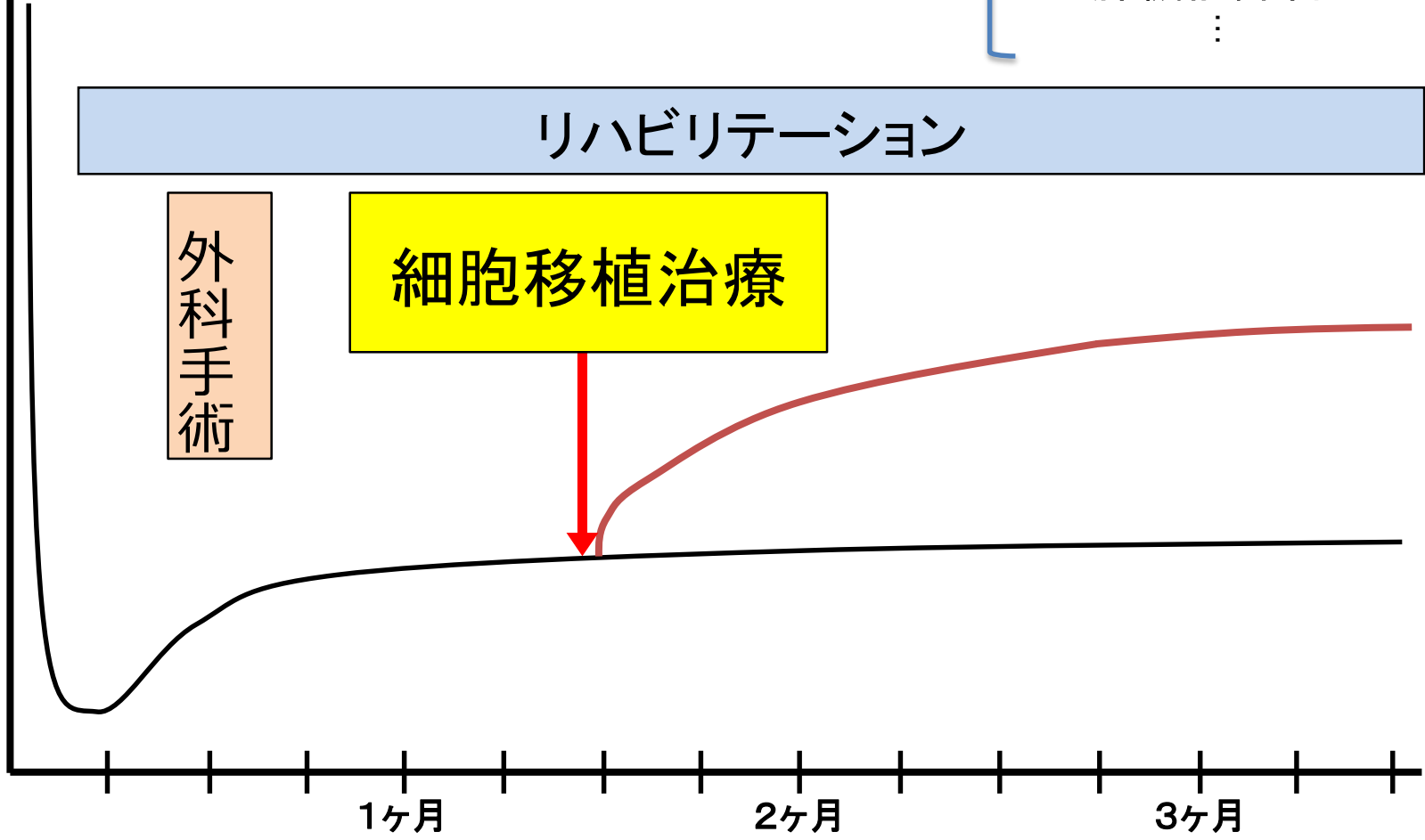


軽  
(症状)  
重

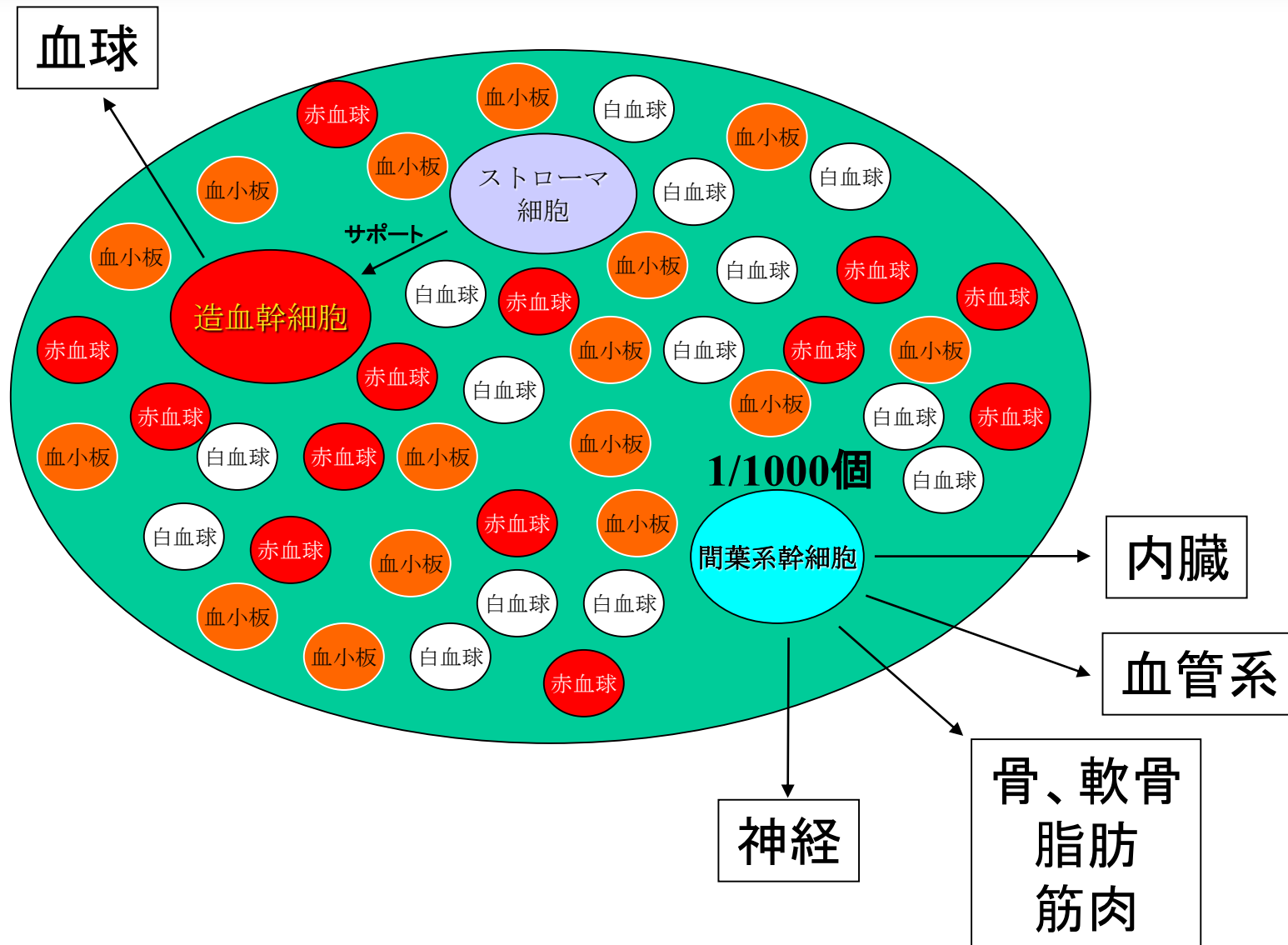
リハビリテーション

外科手術

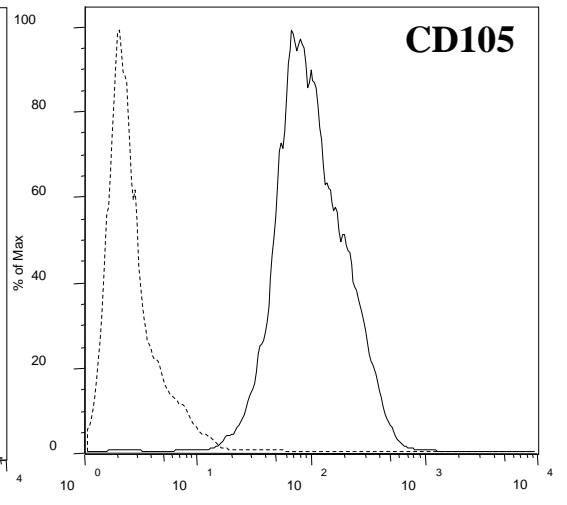
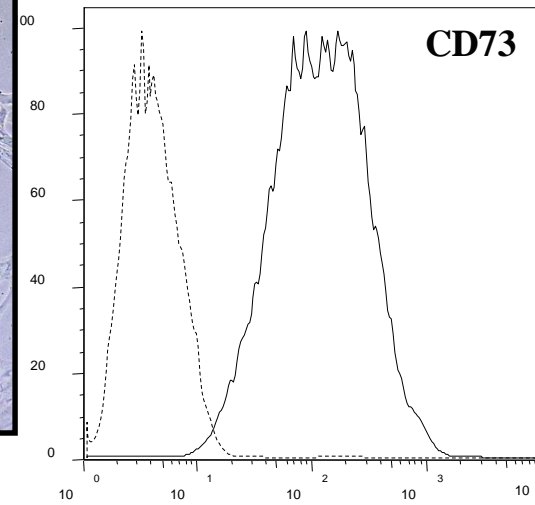
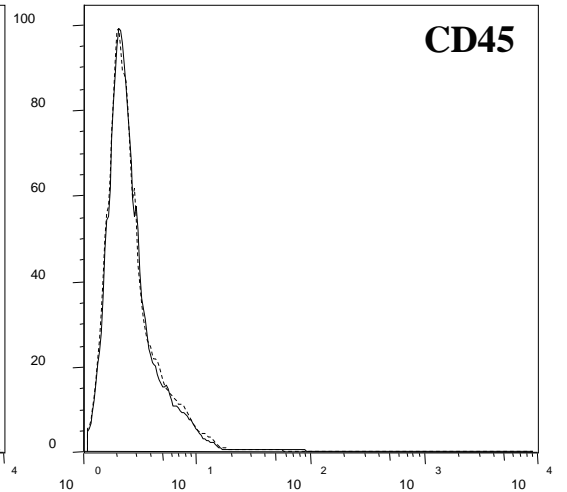
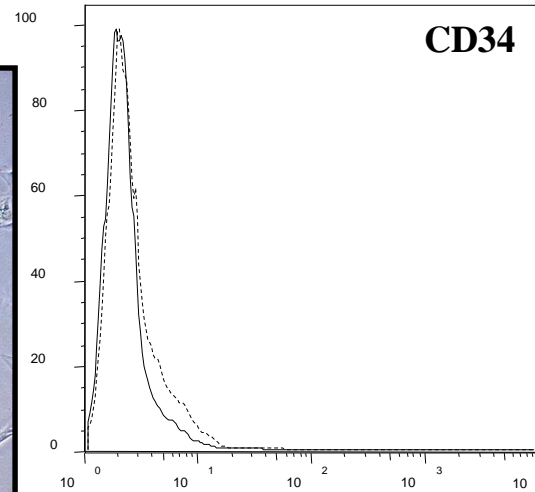
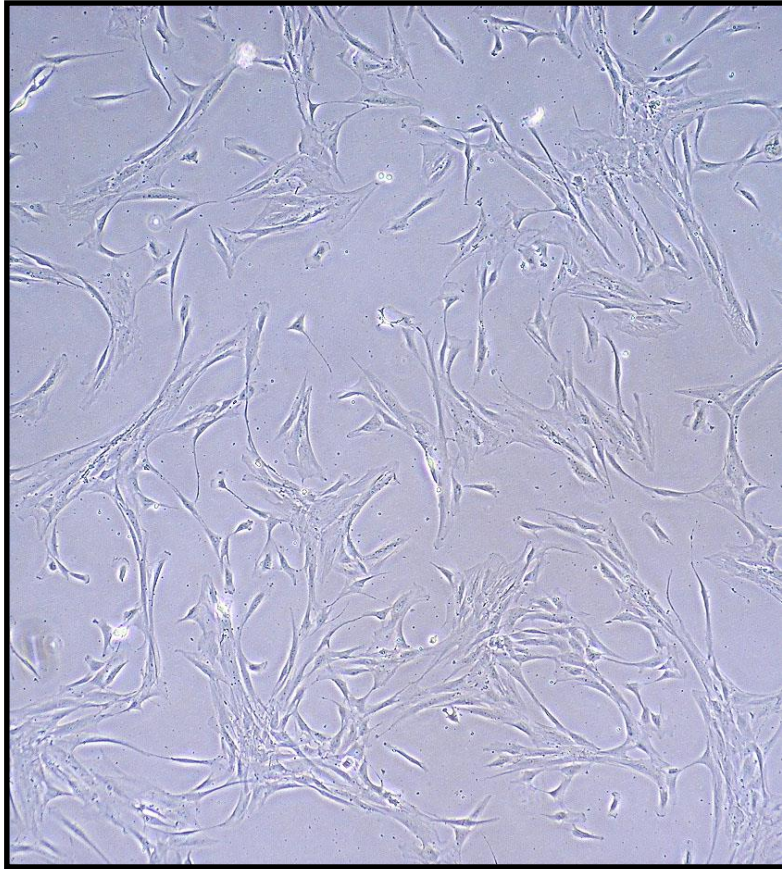
細胞移植治療



# 自己の骨髄間葉系幹細胞



# 培養細胞



# 治験薬の概要

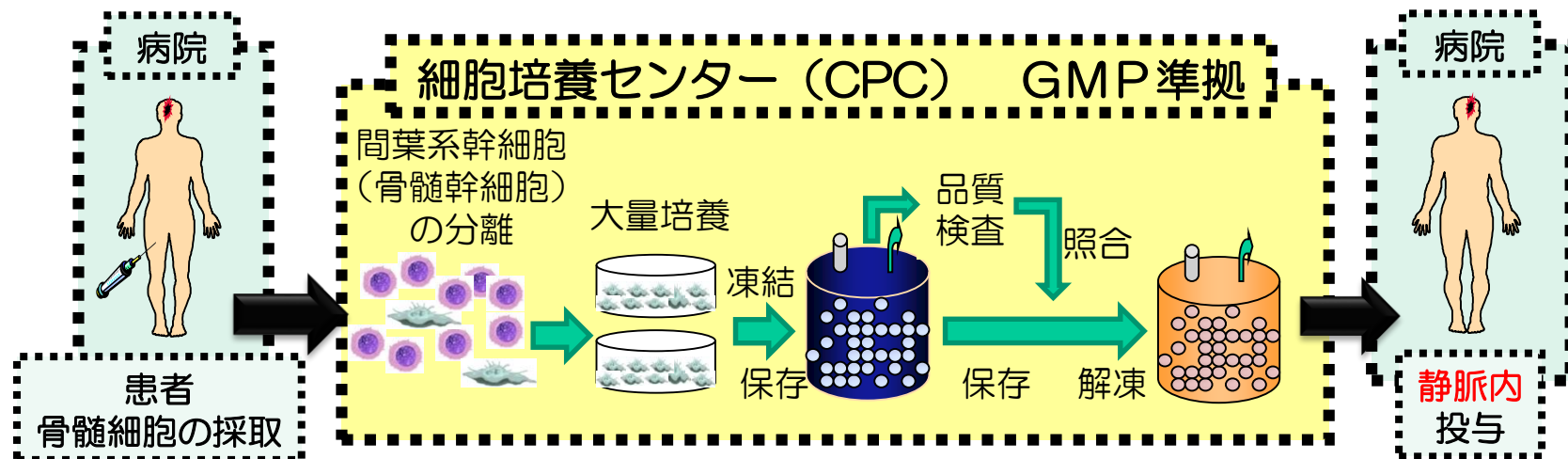
## 自家骨髄間葉系幹細胞 (STR01)

- ①患者の腸骨から局所麻酔下で骨髄液を採取
- ②これを細胞調製施設(CPC)にて目的の細胞を分離し、約2週間で約1万倍に培養
- ③約1億個の細胞を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

### 【治療法のアドバンテージ】

- ・骨髄液の採取は10～15分間ででき、患者の負担が少ない。
- ・脳や脊髄の病気であるにもかかわらず、静脈内投与で効果がある。
- ・発症してから時間が経過していても治療効果が見込める。

### 【イメージ図】



# GMPレベルの幹細胞培養施設



# 細胞製劑(再生医療等製品)



# 作用メカニズム

神経栄養因子を介した神経保護

抗炎症

血管新生

神経再生

- \* 神経細胞へ分化
- \* ホストの神経幹細胞を活性化





# AMED 橋渡し研究推進プログラム

研究サポート機関

**北海道臨床開発機構**

(北海道大学探索医療教育研究センター)

統計解析 (生物統計)

研究サポート機関

**先端医療振興財団**

総合戦略(プロトコル作成支援等)

DM開発・支援

中核研究機関

**札幌医科大学**

<附属病院、CPC>

治験申請・実施

(PM、CRC、DM、ヒアリング、製造等)

研究サポート機関

**東京大学**

薬事 (PMDA対応支援等)

研究参画・サポート機関

**九州大学**

ヒストリカルデータ提供・検討

CRC教育、輸送試験支援

# 医師主導治験による実用化

## 厚生労働省・PMDAと相談

自己培養骨髄葉系幹細胞を再生医療に用いる**細胞製剤(医薬品)**として、**脳梗塞**と**脊髄損傷**の承認を目指しています。

Pharmaceutical Affairs Consultation on R&D Strategy

### 薬事戦略相談

厚生労働省の補助を受けて  
革新的医薬品・医療機器の実用化に向けて  
開発初期から必要な試験・治験に関するアドバイスをを行います！

**薬事戦略相談とは？**  
日本の革新的医薬品・医療機器の創出に向けて、有望なシーズをお持ちの大学・研究機関、ベンチャー企業が主な対象です。  
実用化に向けて必要となる試験・治験計画に関して、薬事承認審査当局(PMDA)が指導・助言を行います。

**お申し込み方法は？**  
まずは、事前に簡単な面談での相談(事前面談)を無料で受け付けておりますので、お気軽にご連絡ください。  
なお、事前面談後の本相談は有料ですが研究費や資本金等が一定金額以下の場合、日額減免の制度も用意しております。

**PMDA 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構**  
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency  
審査マネジメント部 薬事戦略相談室  
〒100-0113 東京都千代田区蔵前3-3-2 新蔵前ビル  
TEL 03-3506-9562 FAX 03-3506-9593  
メールアドレス yakujisenryaku@pmda.go.jp

詳しくはPMDAのホームページをご覧ください。  
<http://www.pmda.go.jp>

PMDA  検索  
薬事戦略相談  検索

PMDAは薬事法に基づいて医薬品・医療機器の承認審査等を実施する機関です。

テーマ別に探す

報道・広報

政策について

厚生労働省について

統計情報・白書

所管の法令等

ホーム > 報道・広報 > 報道発表資料 > 2016年2月 > 「先駆け審査指定制度」に基づき、医療機器及び再生医療等製品を指定

平成28年2月10日

【照会先】

医薬・生活衛生局医療機器・再生医療等製品担当参事官室

参事官 磯部 総一郎 (2911)

係長 荒川 裕司 (2916)

(代表電話) 03(5253)1111

(直通電話) 03(3595)2419

報道関係者各位

## 「先駆け審査指定制度」に基づき、医療機器及び再生医療等製品を指定

### ～日本発の画期的なシーズの開発を促進～

厚生労働省は、昨年12月までに指定申請があった医療機器6品目、再生医療等製品13品目、体外診断用医薬品2品目について評価を行い、本日付で別紙の5品目を「先駆け審査指定制度」の対象品目として指定しました。

「先駆け審査指定制度＊」とは、平成26年6月に厚生労働省が取りまとめた「先駆けパッケージ戦略」の重点施策や、「日本再興戦略」改訂2014を踏まえて導入したものであり、この制度は、対象疾患の重篤性など、一定の要件を満たす画期的な医療機器、再生医療等製品について、開発段階から対象品目に指定し、承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで、承認審査の期間を短縮することを目的としたものです。

通常の新医療機器の場合、12か月を目標に審査を行っているところ、この制度を活用することで、審査期間の目標をこれまでの半分の6か月に短縮することが可能になります。

今回の指定品目には、日本の大学発のシーズや、国内中小企業・ベンチャー企業が開発に携わるものもあり、日本における早期実用化を支援することで成長戦略に掲げるイノベーションの促進にもつながることが期待できます。

【参考】先駆け審査指定制度について

＊指定制度の内容は、(1)優先相談、2事前評価の充実、3優先審査の3つの取組で期間の短縮を実施。

これらの取組に加え、4審査パートナー制度（独立行政法人 医薬品医療機器総合機構(PMDA)が実施）、4製造販売後の安全対策充実の2つの取組で、開発の促進を支援。

再生医療等製品の指定品目

	品目名	品目概要	指定理由
1	STR01 (自家骨髄間葉系幹細胞)	<p>脊髄損傷に伴う神経症候や機能障害の改善を目的とする、患者自身の骨髄から採取した骨髄液から分離、培養した間葉系幹細胞であり、札幌医科大学・医学部附属フロンティア医学研究所・神経再生医療学部門・本望 修教授のシーズを元に、本大学と共同でニプロ(株)が開発を行っている。</p>	<p>(1)間葉系幹細胞を脊髄損傷の治療に用いた製品はなく、本製品は新規性を有する。                  (2)脊髄損傷は、下半身麻痺や四肢麻痺を引き起こし、社会生活が困難な状況が継続する重篤な疾患である。                  (3)探索的臨床試験により、極めて高い有効性を示唆する結果(AIS (American Spinal Injury Association Impairment Scale)の改善)が得られている。                  (4)札幌医科大学の本望教授、山下教授中心に医師主導で国内臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
2	G47Δ	<p>悪性脳腫瘍(神経膠腫)への適応を目的とした、制限増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス1型であり、東京大学・医科学研究所・先端がん治療分野・藤堂 具紀教授のシーズを元に、藤堂教授と共同で第一三共(株)が開発を行う予定。</p>	<p>(1)ウイルスを用いたがん治療法(ウイルス療法)であり、新規作用機序を有する。                  (2)悪性神経膠腫は、生命に重大な影響がある重篤な疾患である。                  (3)臨床研究により、極めて高い有効性を示唆する結果(1年生存率の向上)が得られている。                  (4)藤堂教授中心に医師主導で国内臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
3	自家心臓内幹細胞	<p>小児先天性心疾患(機能的単心室症)患者に実施する外科的修復術後の心機能改善を目的とした、患者自身の心臓から採取した組織から分離、培養した心臓内幹細胞懸濁液であり、岡山大学病院・新医療研究開発センター再生医療部・王 英正教授のシーズを元に、(株)日本再生医療が開発を行う予定。</p>	<p>(1)心組織から心筋細胞に分化しうる心臓内幹細胞を利用するものであり、従来の治療法とは異なる作用機序を有する。                  (2)小児先天性心疾患(機能的単心室症)は、外科的修復術後も酸素飽和度や心機能が改善されず、最終的に心臓移植以外に治療選択肢がなくなる場合もある重篤な疾患である。                  (3)臨床試験により、極めて高い有効性を示唆する結果(心機能の改善や心不全症状の改善)が得られている。                  (4)王教授中心に医師主導で国内臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>

# 厚労省先駆け審査指定制度における 再生医療等製品の指定品目として指定

2016年2月11日  
朝日新聞

2016年2月11日  
北海道新聞

## 厚労省「先駆け審査指定制度」

# 札医大の医療製品指定

厚生労働省は10日、優れた新薬や医療機器を世界に先駆けて実用化するため「先駆け審査指定制度」の対象として、札幌医大が開発し、損傷した脊髄の改善を目指す再生医療製品など5品目を指定した。札幌大の本望修教授（神経再生医療学）は「実用化へ向けたベースが加速される」と話している。

## 脊髄損傷治療加速へ

指定により、通常約1年かかる承認審査が約半年に短縮される。再生医療製品と医療機器の指定は初めて。札幌大が開発中の脊髄損傷治療は、患者の脊髄から採取した幹細胞を培養して増やす。これを点滴で患者に戻し、神経の再生を目指す。札幌大と共同研究する医療機器・医療品製造の二

プロ（大阪）が札幌市内で開発拠点の建設を進めている。交通事故などの衝撃で神経が傷つく脊髄損傷は、体の機能に大きな影響が出やすい。先駆け審査指定を踏

まえば本望教授は「日本では年間約5千人が脊髄を損傷している。現在行っている治療では、まひなどの後遺症が軽くなるなど、期待できる結果が出ている。数年以内には細胞医療品として患者に届けたい」と語る。

札幌大以外では今回、再生医療製品として悪性脳腫瘍のがん細胞だけを殺す東京大の遺伝子組み換えヘルペスウイルス（G47Δ）など、医療機器では発声障害の治療で使うチタン製プレート（京都大、熊本大）などが指定された。

医薬品では昨年10月、胃がんの治療薬など6品目が指定されている。

## 脊髄損傷治療 審査を短縮 1年を半年に 幹細胞使う再生医療

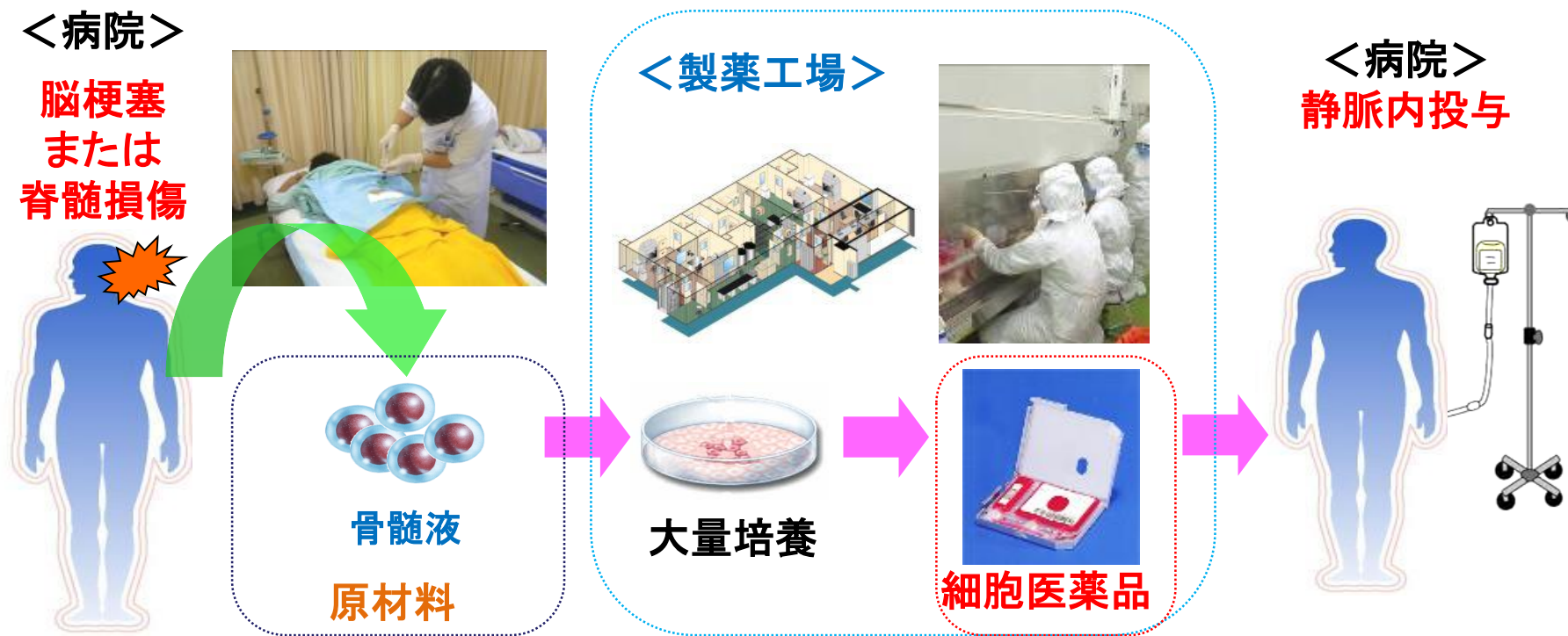
脊髄を損傷した患者自身の骨髄から採取した幹細胞を使って神経の機能を再生させる治療法について、厚生労働省は10日、画期的な効果が期待できるとして、承認審査の期間を短縮する「先駆け審査指定制度」の対象とすることを決めた。脊髄損傷の患者は国内に約20万人いるとされ、リハビリ以外に有効な治療法がほとんどなく、新しい治療法

が求められている。制度の対象になると、通常1年程度の審査期間を半年程度に短縮するなど、優遇措置を受けられる。この幹細胞治療は、札幌医科大が開発。脊髄損傷を対象とした初めての再生医療の臨床試験（治験）が進められている。患者から骨髄液を数十ミリリットル採取し、神経や骨、筋肉などに

細胞を取り出す。1万倍に培養し、患者の静脈に注射する。傷ついた神経に集まって、神経の動きを取り戻すという。治験の成績は明らかにされていないが、厚労省は「高い有効性を示唆する結果が出ている」という。同大は2018年までの承認取得を目指している。厚労省によると、脊髄損傷の患者は、交通事故など

で年に5千人程度増えている。脳からの指示を伝える神経が傷つくため、手足に重いまひなどの障害が残る場合もある。先駆け審査指定制度は15年度に始まった。今回は、再生医療と医療機器を対象に計5種類を指定した。1〜3年以内の承認を想定しているという。指定されたのはほかに、ウイルスを用いた悪性脳腫瘍（神経膠腫）の遺伝子治療、小児先天性心疾患への幹細胞治療、若い女性に多い発声障害を改善させる治療、糖質の一種の水溶液を使って手術後の臓器の癒着を防ぐ治療。（竹野内崇宏）

# 認可後は、ニプロ株式会社が 細胞医薬品（再生医療等製品）を製造・販売する予定



# ニプロ(株)再生医療研究開発センター in Sapporo



4月29日(火曜日) 北海道新聞 第25682号(日刊)

## 北海道新聞

2014年 4月29日 火曜日 昭和の日

発行所 北海道新聞社  
〒060-8711 札幌市中央区南一条西五丁目  
電話011-221-1111

読者センター  
011-210-5888  
〒060-0808 札幌市中央区南一条西五丁目  
0120-664-1194

### 脳梗塞、脊髄損傷 神経を再生

## 札幌に細胞医薬品工場

### 札幌大開発 ニプロ18年にも稼働

「細胞医薬品」による治療イメージ  
ニプロの札幌工場

再生医療の分野で、脳梗塞や脊髄損傷の患者に、神経を再生させる治療法が開発されている。札幌市に建設中のニプロの細胞医薬品工場は、この治療法を実現するために、再生医療の分野で、脳梗塞や脊髄損傷の患者に、神経を再生させる治療法が開発されている。札幌市に建設中のニプロの細胞医薬品工場は、この治療法を実現するために、再生医療の分野で、脳梗塞や脊髄損傷の患者に、神経を再生させる治療法が開発されている。

きょうの夕刊休みます  
きょう29日(火)は祝日(昭和の日)のため、夕刊は休ませていただきます。ご了承ください。

### 進学塾 道内対象世帯増加続く 31

経済的に困窮する家庭に支給される就学援助の対象者が、道内の小中学生4人に1人近くになる。長引く不況などが原因で保護者の意識も、

### 新幹線 道内で機型お披露目 30

以上かかると、札幌に治療工場を建設する。札幌市に建設中のニプロの細胞医薬品工場は、この治療法を実現するために、再生医療の分野で、脳梗塞や脊髄損傷の患者に、神経を再生させる治療法が開発されている。

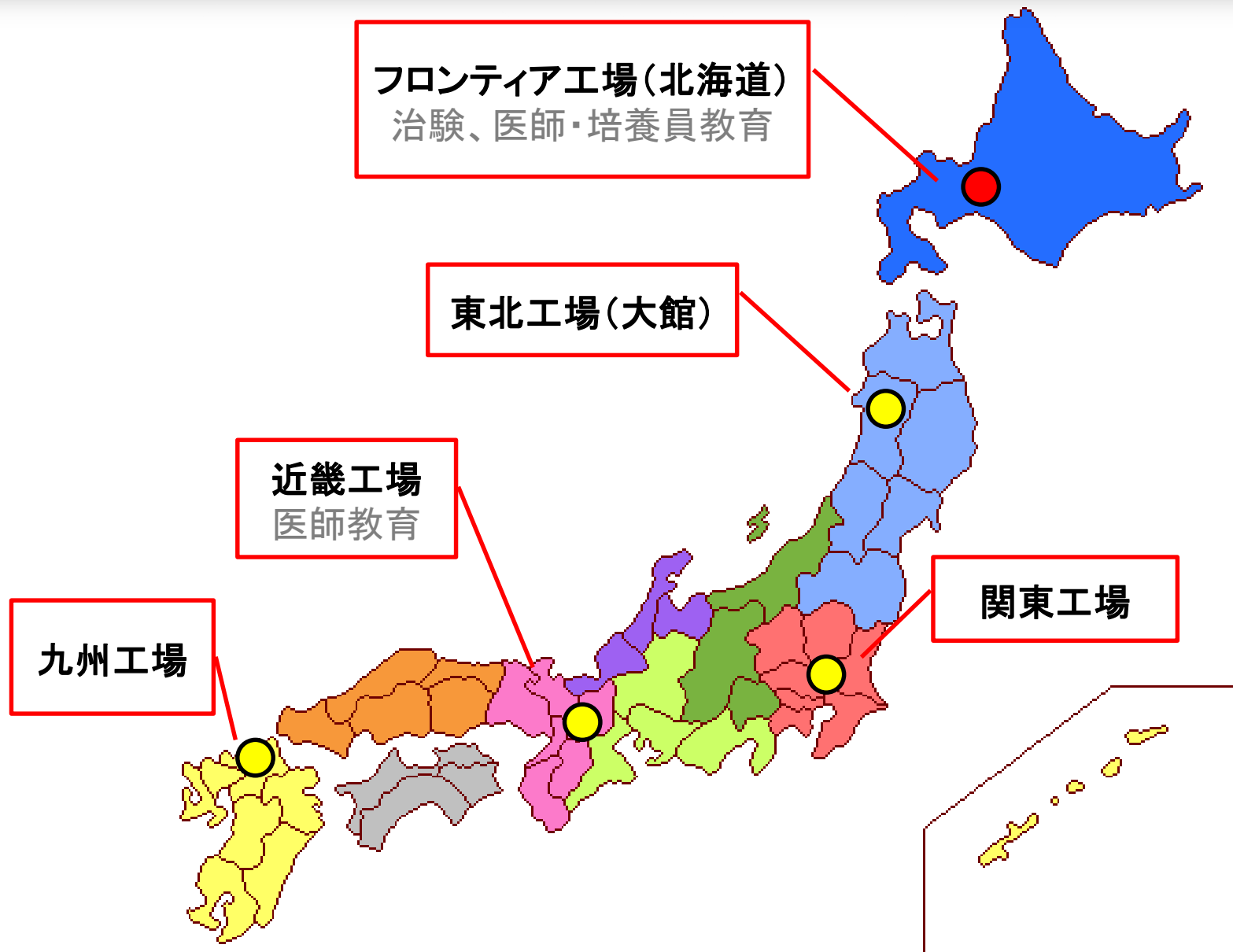
どがなし	道内外の中高生一様に	2
財政決算	60年度の債務8157兆円	5
プロ野球	平均年俸 日ハム6位	18
派遣社員	将来は正社員に、48%	29
香の活動	道内から214人	20 21 29
森の大地	復権抱う春コン	10
生主	主催の再就職 安否で後押し	17
ひ	と津波工学の第一人者	5

## プーチン氏側近資産凍結

### 米、対ロ追加制裁発表

止むを得ず、プーチン氏側近の資産を凍結する措置を発表した。米政府は、プーチン氏側近の資産を凍結する措置を発表した。米政府は、プーチン氏側近の資産を凍結する措置を発表した。

# 再生医療細胞医薬品の生産拠点概案





# Doctor Jet



都市、へき地、離島の距離を飛び越えて  
「命の翼」を  
航空医療体制の  
スタンダードへ  
「メディカルウイング」の本格運航を目指して



全国初の試みとして、北海道に基地空港を置いて実施した  
医療優先認定貨機（通称：メディカルウイング）の研究運航。  
都市と離島やへき地、北海道と首都圏を短時間で結び  
高度・専門医療の受療につなげる搬送手段として  
多くの需要と有効性が認められました。  
新たな希望を乗せた「命の翼」を、航空医療体制のスタンダードへ。  
ひたしたならば、メディカルウイングの本格運航と  
格差のない地域医療の平準化を目指し  
研究活動や課題検討の取り組みを続けています。

北海道航空医療ネットワーク研究会  
(事務局・一般社団法人 北海道医師会内)



ありがとうございました