

## ヒト幹細胞臨床研究の形態の多様性

○ ヒト幹細胞臨床研究は同一機関内で幹細胞の採取、調製、投与が完結するケースばかりではない。

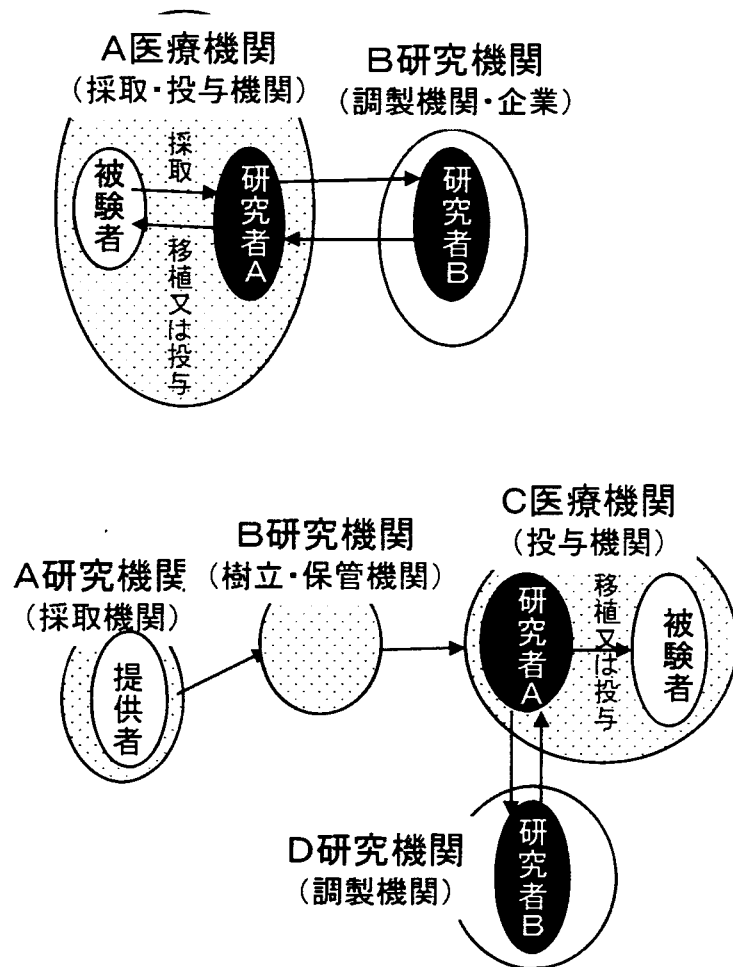
- 例) ①細胞の調製のみを、施設を備えた機関に依頼するケース。  
②バンク化した同種由来幹細胞を投与機関に分配して使用するようなケース。

○ 厚生労働省「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」

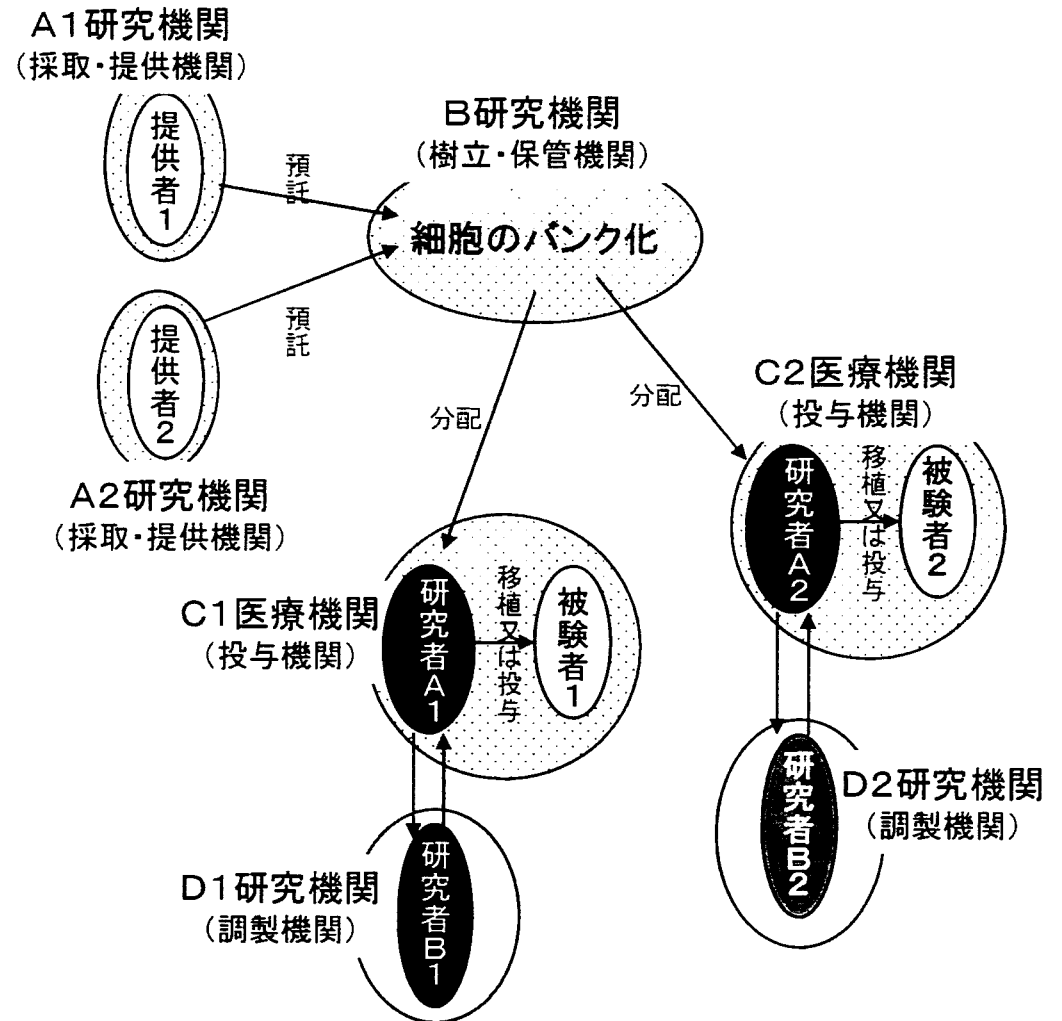
- ・自己由来細胞の医療機関同士のやりとりについての枠組みを整理中(平成21年度措置)

# 今後想定しうるヒト幹細胞臨床研究の形態

## ① 自己由来細胞



## ② 同種由来細胞



# 対象疾患

## 第1章 総則

### 第4 対象疾患等

ヒト幹細胞臨床研究の対象は、次に掲げる要件に適合するものに限る。

(1) 重篤で生命を脅かす疾患、身体の機能を著しく損なう疾患又は一定程度身体の機能若しくは形態を損なうことによりQOL(生活の質)を著しく損なう疾患であること。

細胞治療により有効性が予想されるものの、指針の対象疾患外として、機関内倫理審査委員会で問題とされる例。

- ・椎間板ヘルニア
- ・指関節の拘縮
- ・角膜の混濁 等

## 指針見直しについての論点

自己由来幹細胞と同種由来幹細胞という観点から

細胞調製を、他機関に依頼

対象疾患

研究実施の許可体制

GMP, GTPのレベル

**指針の見直しを。**

---指針、細則、Q&A のいずれかに書き込む。---

# 先天性代謝異常疾患に対する造血幹細胞移植の実施状況

梅沢班・辻 班・日本小児血液学会合同調査  
梅沢明弘、辻 省次、加藤剛三、  
加藤俊一、栗島秀雄、土田昌宏

## 移植実施調査期間

1985～2004年

## 初回移植症例数

141例

## 再移植

15回、3回目の移植 1回

## 実施施設

35施設

## 疾患

ムコ多糖症 : 72 (I:9, IS:3, II:39, III:2,  
IV:4, VI:4, VII:2)

副腎白質ジストロフィー : 38

I-cell病 : 6

異染性ロイコジストロフィ : 5

Gaucher病 : 4

GM1 gangliosidosis : 4

その他 : 31 (Krabbe, Galactosialidosis, Alfa-  
Mannosidosis, Nieman-Pick, Pompe, Multiple  
sulfatase def.)

性別 男性 : 100, 女性 : 23 (2002年)

## 初回移植時年齢

0歳 : 5, 1歳 : 9, 1歳 : 19, 3歳 : 10, 4歳 : 16,  
5歳 : 10, 6歳 : 11, 7歳 : 12, 8歳 : 7, 9歳 : 6,  
10歳以上 : 18

## ドナー

同胞 : 59例、両親 : 7例、非血縁者 : 57

## HLA適合度

一致 : 98例、部分一致 : 24例、不明 : 1例

## 移植細胞源

骨髄 : 103例、末梢血+骨髄 : 1例、

臍帯血 : 19例

## 移植の結果(初回移植)

### 生着

あり : 81例 (65.8%)

なし(拒絶) : 33例 (26.8%)

不明 : 9例 (7.3%)

### 転帰

生存 : 99例 (80.5%)

死亡 : 24例 (19.5%)