

再生医療等製品の治験事例

2014年2月13日

産業構造審議会 知的財産分科会

再生医療等製品の特許権の存続期間検討WG

テルモ株式会社

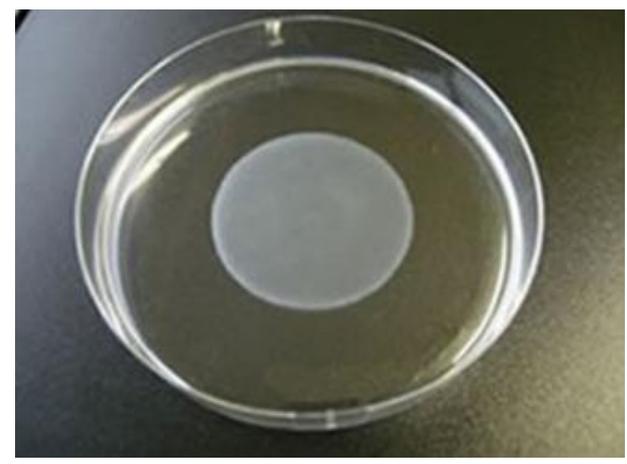
骨格筋芽細胞シートの概要

本剤は、患者自身の大腿部等から採取した骨格筋に含まれる骨格筋芽細胞を体外で培養して増殖させた後にシート状にして患者の心臓に移植する、ヒト(自己)由来細胞・組織加工医薬品

- 外観は、白色半透明の薄い膜状。
- 細胞シートは、単核細胞が密に集積した状態。

基本情報

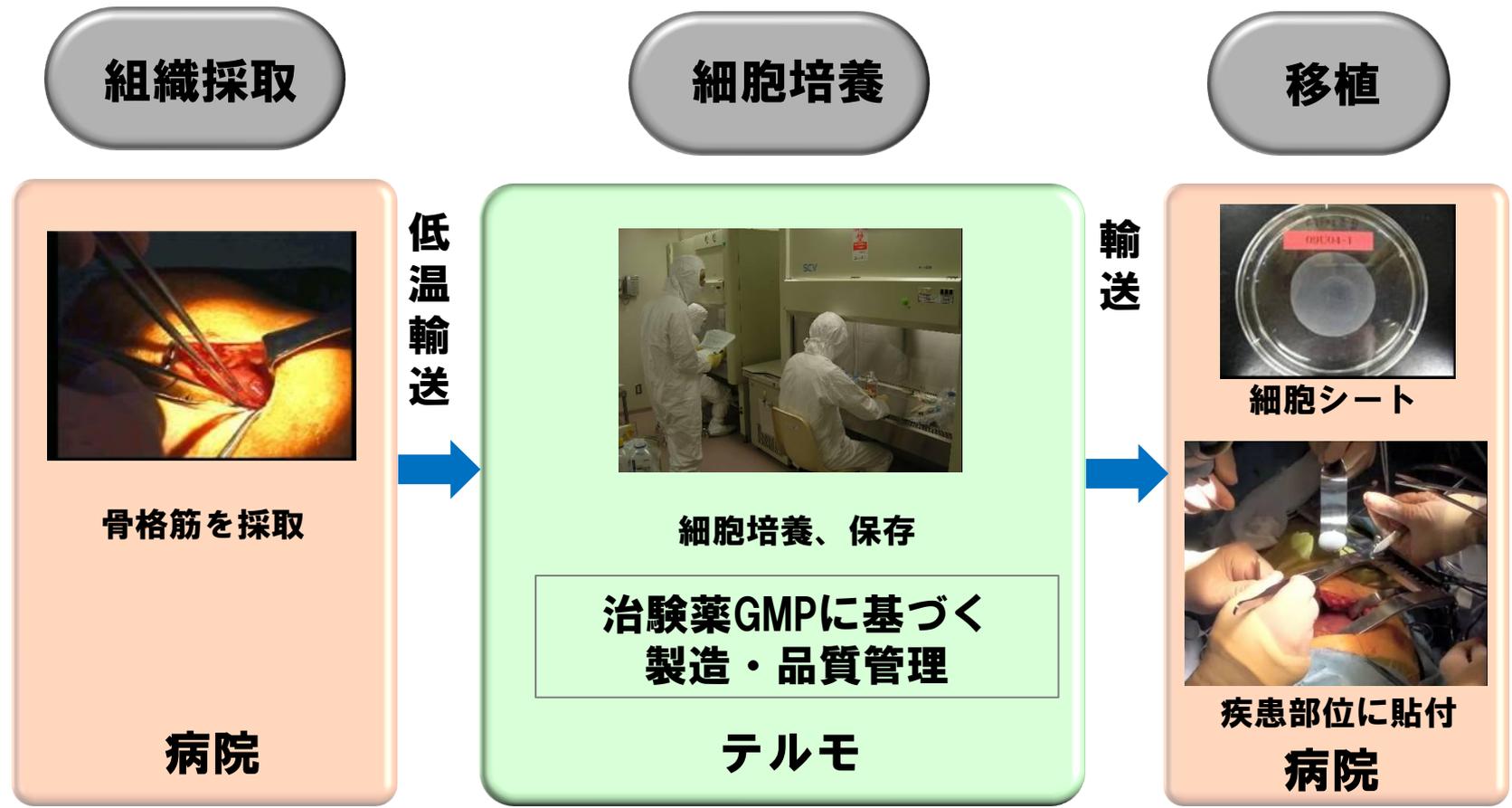
剤型	・細胞シート
性状	・ ○○○
品質試験	・ △△△ ・ ××× ・
保存条件	・ ◆◆◆



治験概要（医薬品）

- 2012年2月開始
- 対象疾患：虚血性心疾患による重症心不全患者
- 試験方法
 - 症例数：6例
 - 実施予定施設：3施設（大阪大学、他）
 - 評価期間：移植後6か月（フォローアップ2年間）

治験での組織・細胞の流れ



再生医療等製品の治験特有事項

治験デザインを設定するにあたり、評価指標を定めるのが難しいケースがある。再生医療等製品を用いた治療法を確立させるための基準策定には更なる検討が必要である。

通常の治験第Ⅰ相	テルモ細胞シート
健康人による安全性試験	患者様



- 症例数が少ない
- 患者様選定に時間がかかる

再生医療等製品の治験特有事項

対照群(※)をおいた臨床試験が出来ないことが多く、評価が難しい場合がある

※対照群：臨床試験の結果を評価するために、参加者をグループ分けして、その際に比較される群(グループ)をいう。臨床試験では、対照群として、病気の標準治療法又はプラセボ(偽薬)のいずれかが割り付けられることが多い。