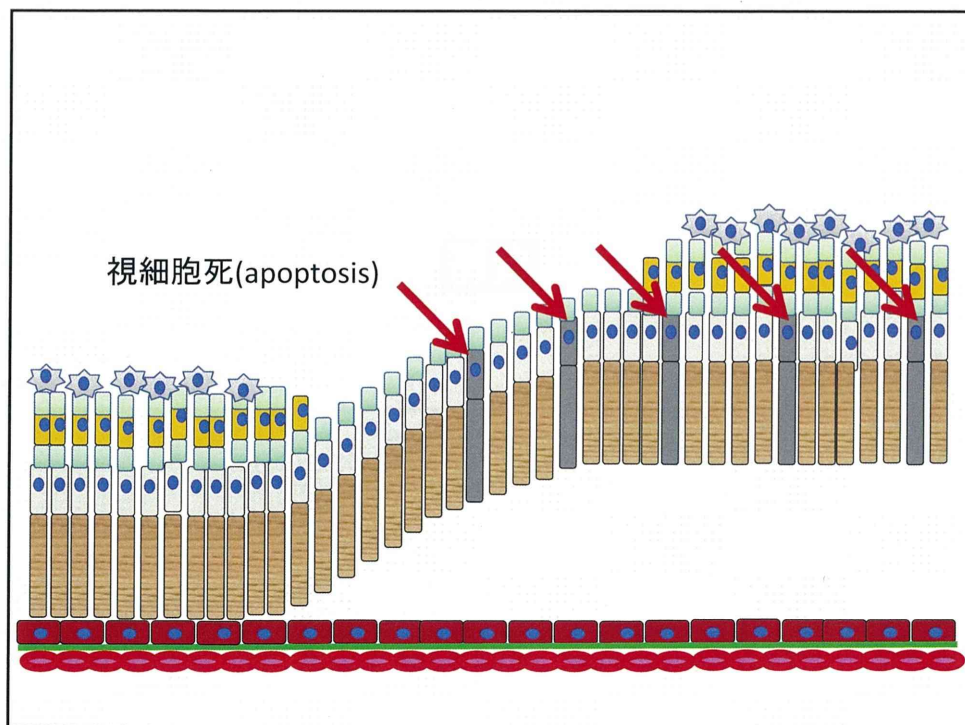
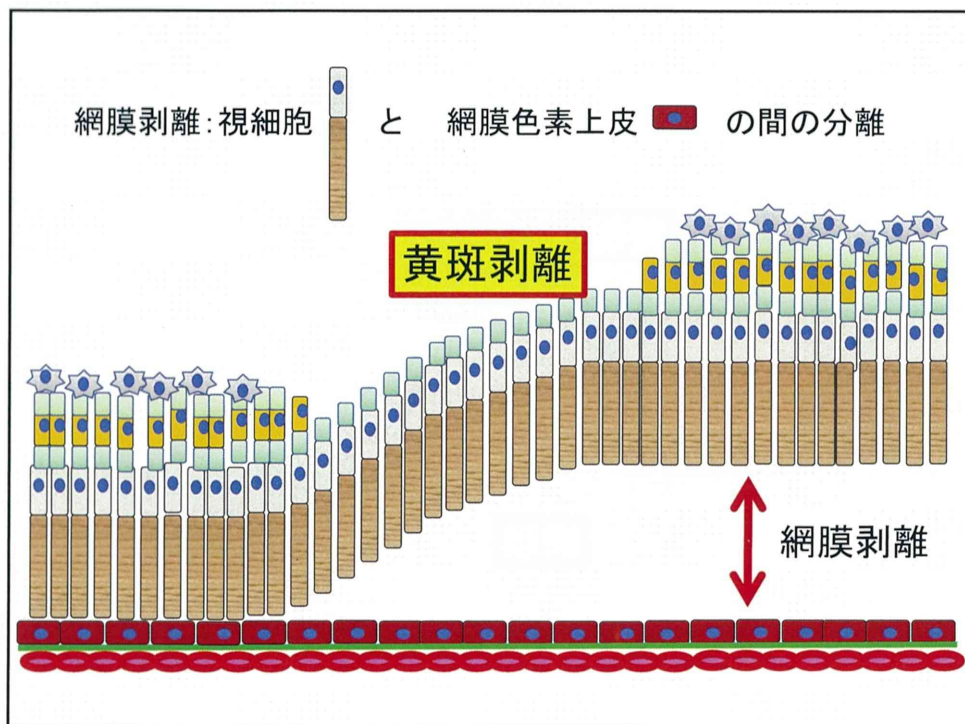
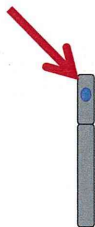
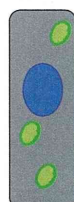




視細胞死(apoptosis)



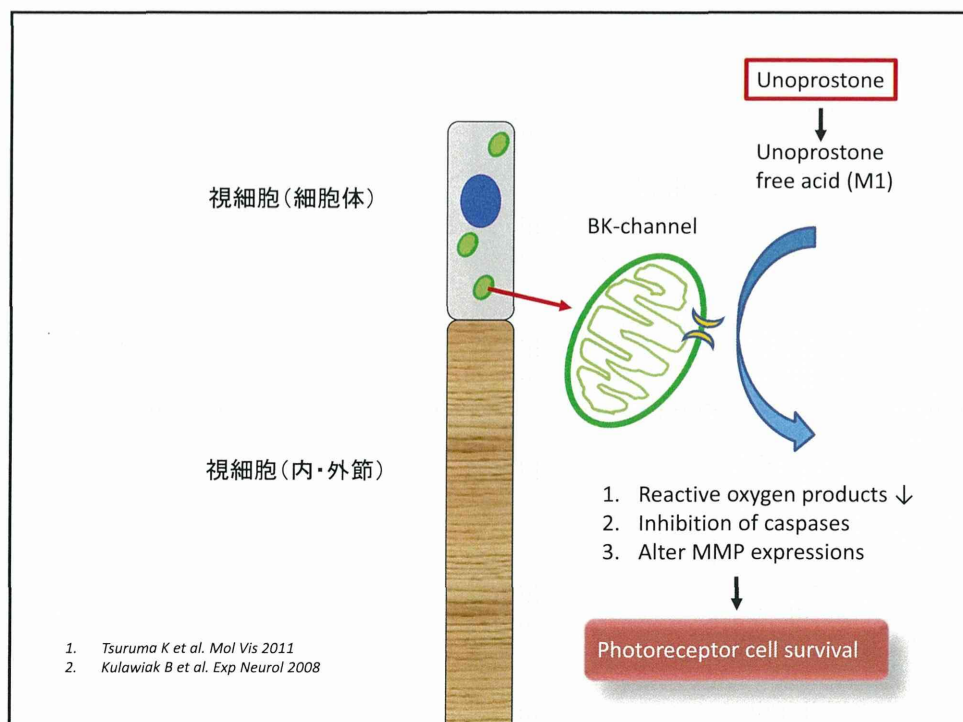
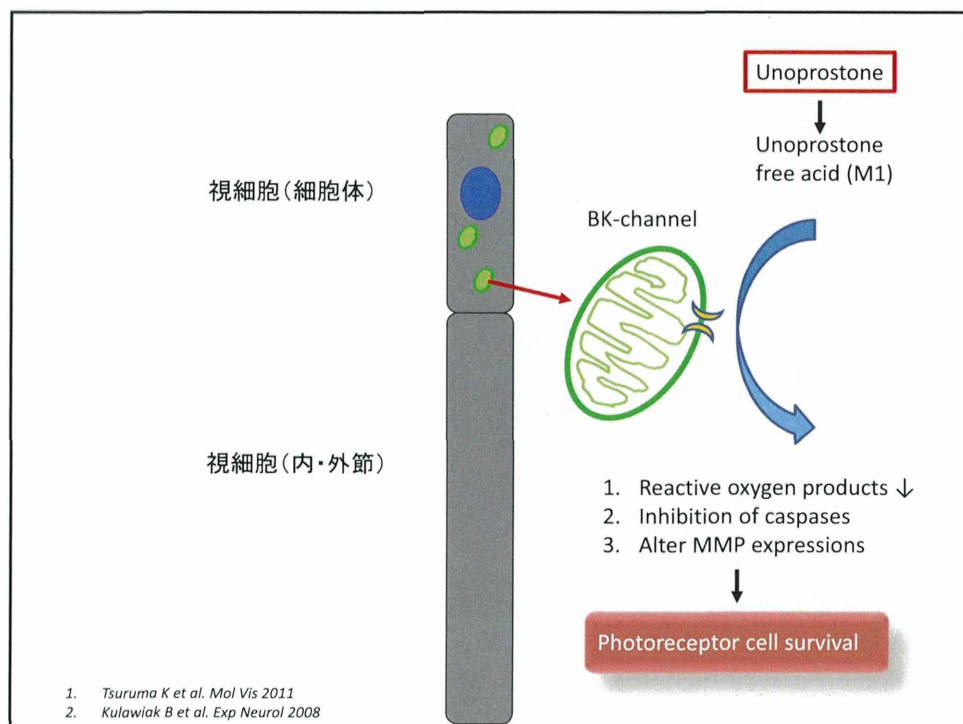
視細胞(細胞体)

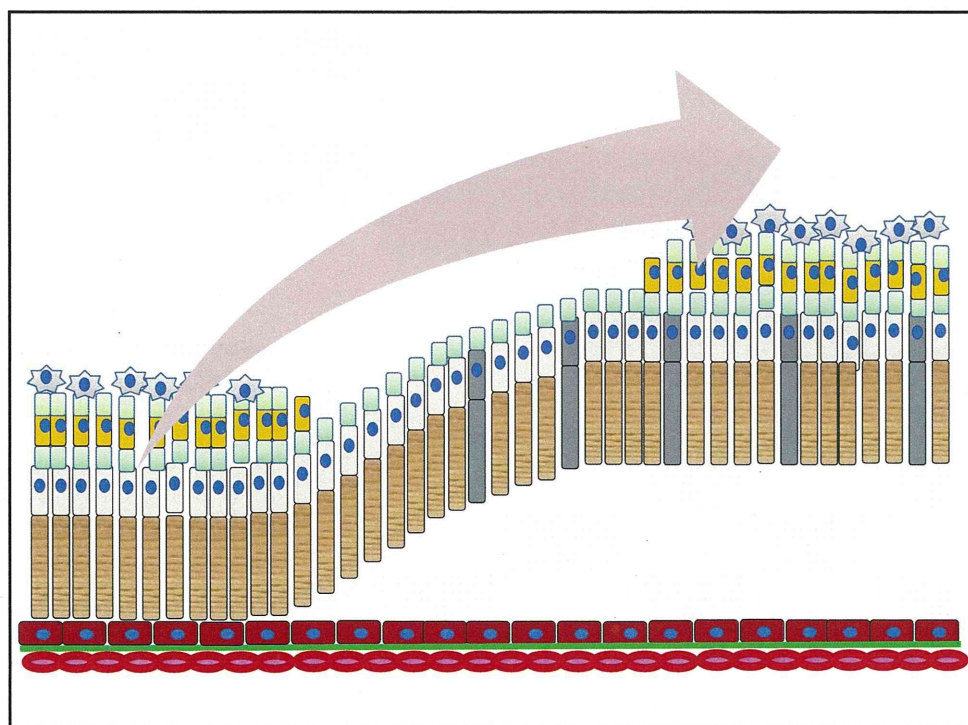
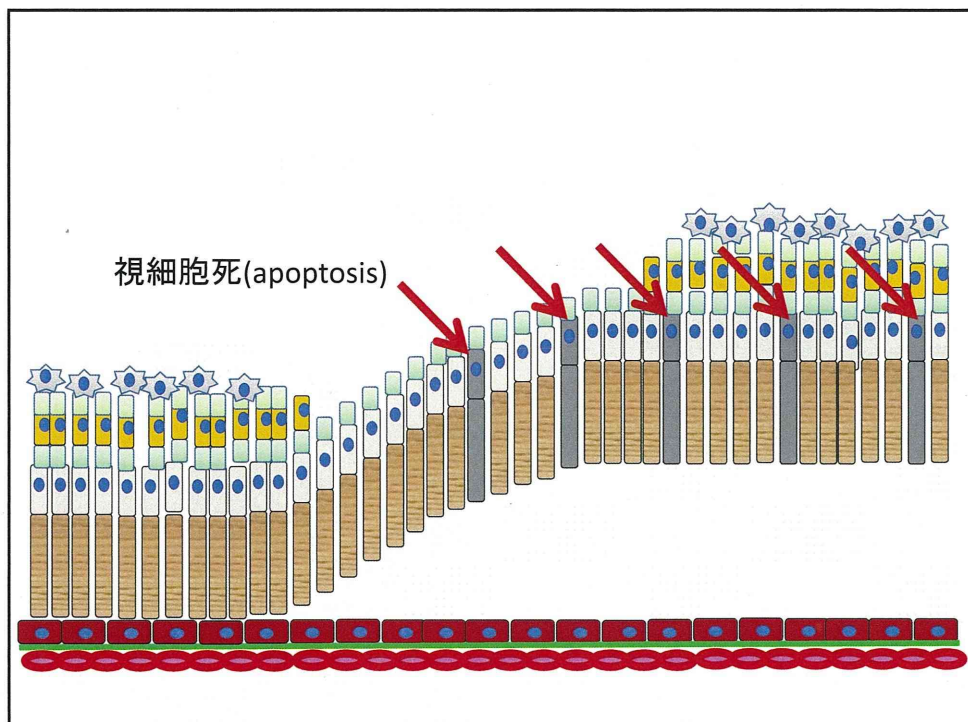


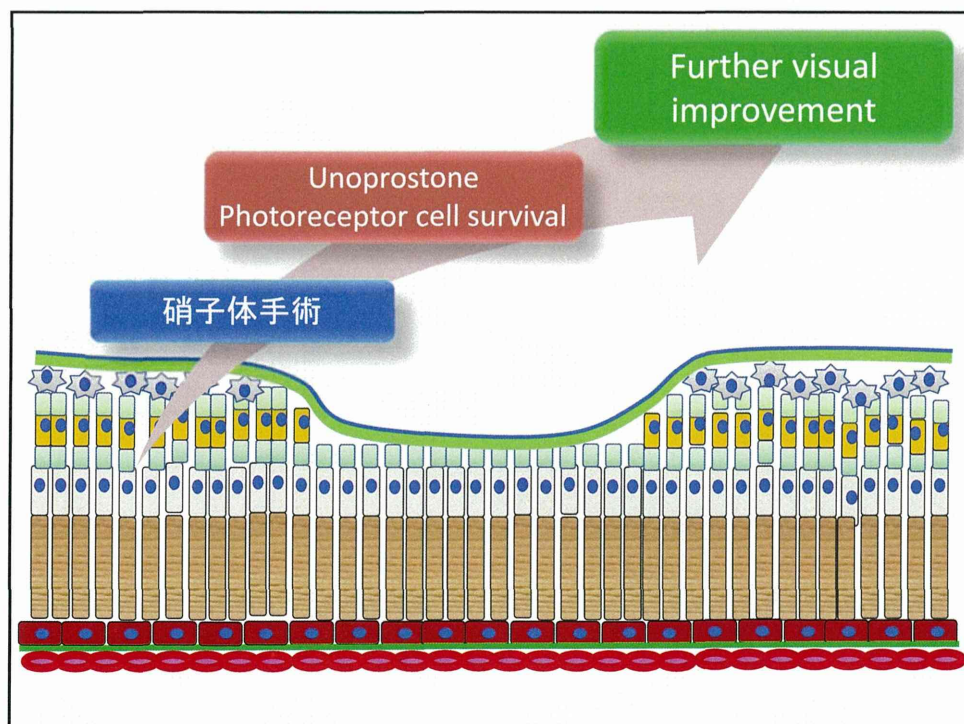
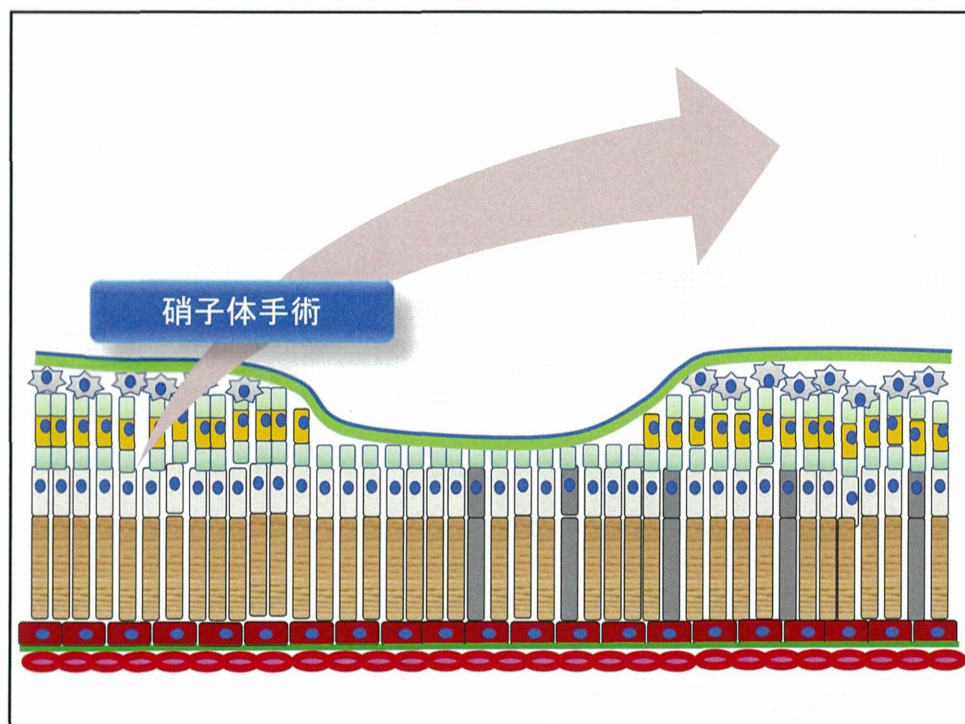
視細胞(内・外節)



1. Tsuruma K et al. Mol Vis 2011
2. Kulawiak B et al. Exp Neurol 2008







8. 非臨床試験資料整備状況 毒性試験

【単回投与毒性試験】

ラット及びイヌに対し静脈、皮下内投与を実施したところ、高い耐性を示した。

【反復投与毒性試験】

ラット及びイヌに対し皮下、静脈内投与を実施したところ、投与部位の痂皮形成、腫脹、硬結が認められたが、いずれも回復期間中に消失した。

【反復点眼投与試験】

ウサギ及びサルに対し点眼を行い、以下の成績を得た。

ウサギ

・0.06～0.18%、30日間、4回/日

・0.15%、90日間・1年間、4回/日

軽微な充血、眼刺激性あるが全身的影響なし。

サル

・0.15%、18カ月、2回/日

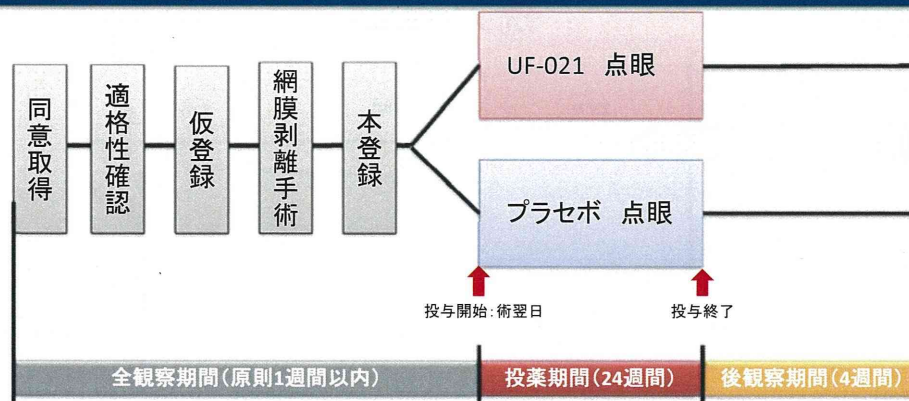
1例虹彩色の変化が認められたが全身的影響なし。

【変異原性試験】 陰性

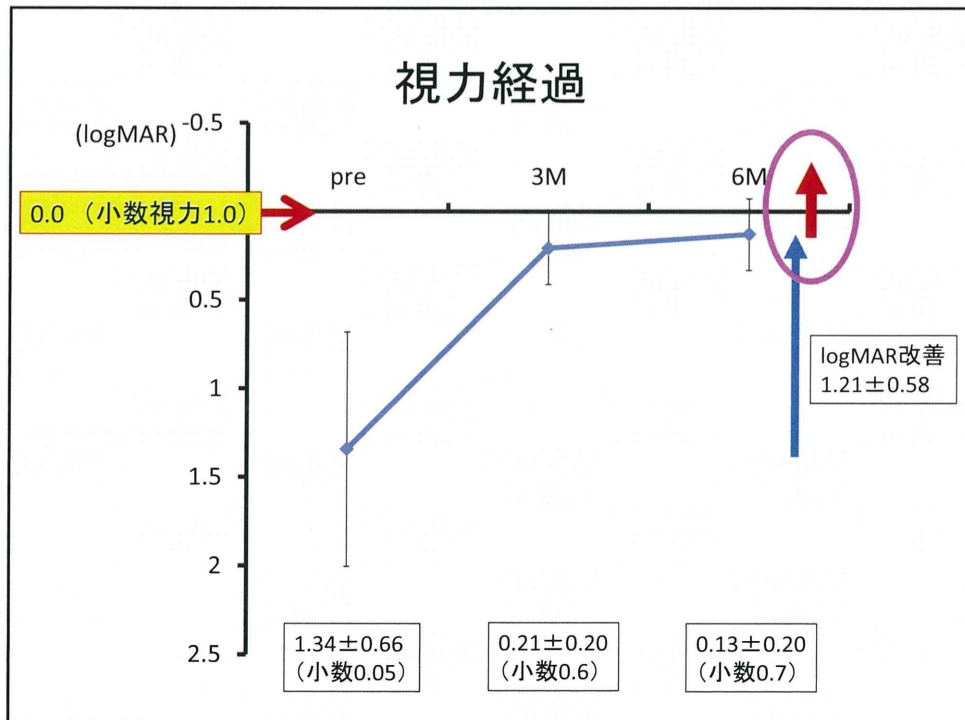
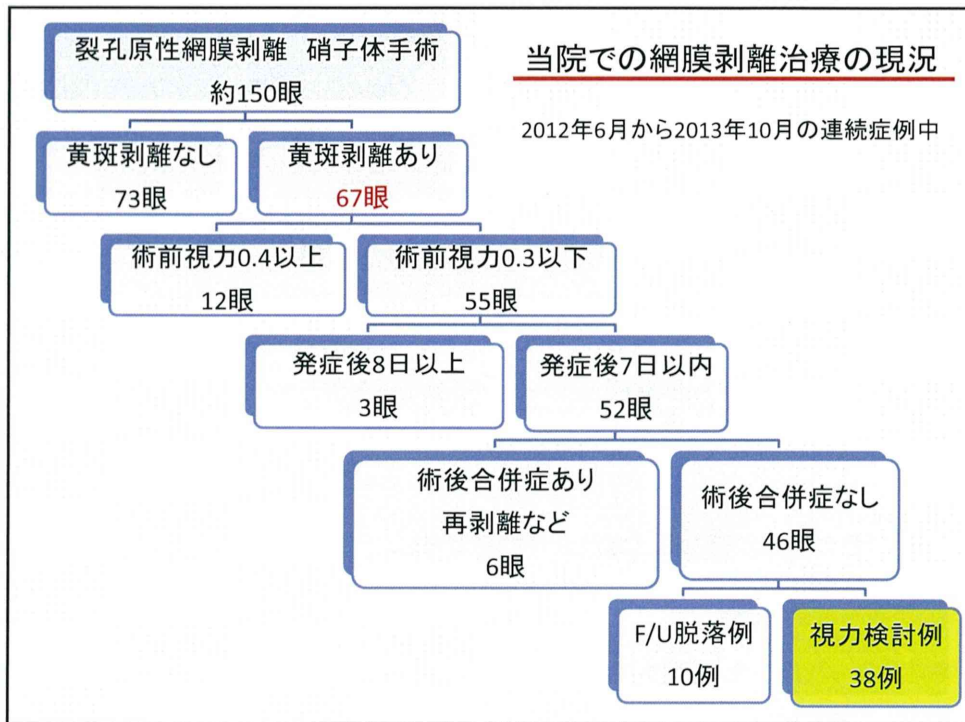
【生殖発生毒性試験】

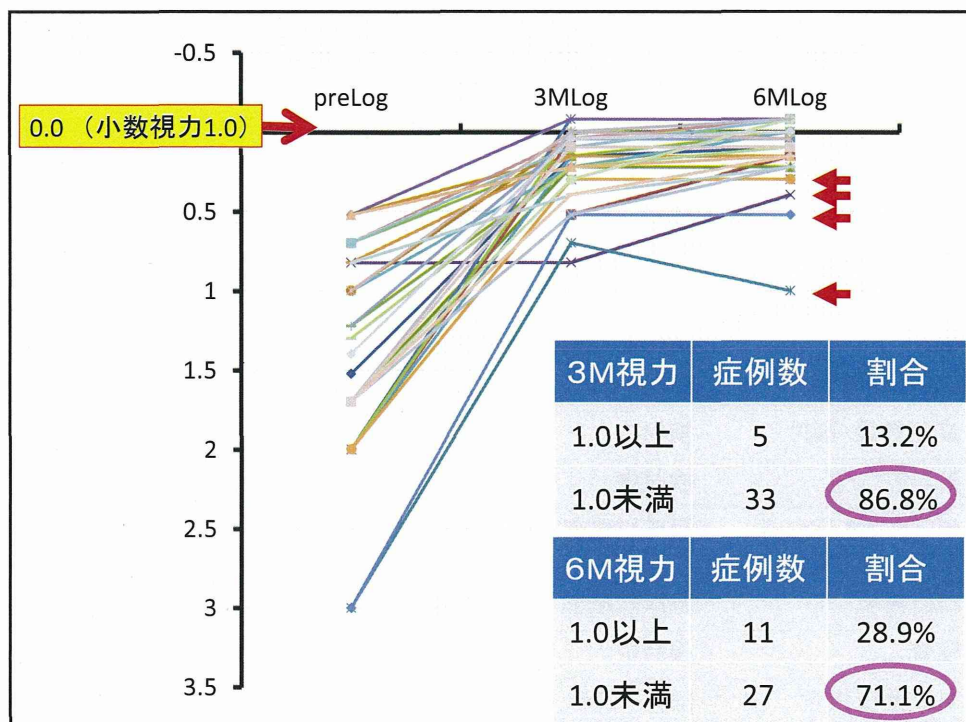
ラット及びウサギに対し皮下投与を実施したところ、ラット、ウサギ共に流早産増加傾向がみられたが生殖障害、催奇形性は認められなかった。

9. 臨床試験の概要



- 対象疾患 : 裂孔原性網膜剥離
- 試験デザイン : プラセボ対照、ランダム化、二重遮蔽、並行群間比較
- 主要評価項目: 小数視力の変化量
- 目標症例数 : 30例 (UF-021群: 15例、プラセボ群: 15例)
- 試験実施期間: 平成27年1月1日－平成28年6月30日
(登録締切 平成28年1月6日)





9. 臨床試験の概要

主要 エンドポイント	試験終了時点での小数視力の変化量(logMAR換算)
副次 エンドポイント	(1) 網膜感度 (2) 中心窩平均網膜外顆粒層厚・中心窩網膜厚・黄斑網膜体積と変化量 (3) 広角眼底撮影装置Optosによる眼底自発蛍光と変化量 (4) 試験開始3か月までの小数視力の変化量(logMARに換算) (5) 各時点における小数視力の経時推移 (6) 試験開始後3か月および試験終了時の小数視力1.0への回復した症例の割合 (7) 試験開始後3か月および試験終了時の小数視力0.7への回復した症例の割合 (8) 小数視力1.0まで回復するまでに要する期間 (9) QOL(VFQ-25) (10) 色覚(パネルD-15) (11) 有害事象及び副作用
研究期間	治験審査委員会承認後～平成28年1月6日 (登録締切:平成27年6月30日)
目標症例数	30例(UF-021群: 15例、プラセボ群: 15例)
実施医療機関	千葉大学医学部附属病院
症例集積	症例集積性向上のため、科内及び他科への周知を行う。 また、学会地方会、同門会等でも周知を行う。

組織体制		
研究代表者	眼科	山本修一
試験責任医師	眼科	馬場隆之
試験調整委員会	眼科 臨床試験部	馬場隆之 花岡英紀、佐藤喬俊、菅原岳史、片山加奈子
試験事務局	臨床試験部	片山加奈子
効果安全性評価委員会	眼科 消化器内科	忍足俊幸 新井誠人
試験薬割付	検討中	
症例登録・割付	検討中	
モニタリング	検討中	
データマネジメント	臨床試験部	花輪道子 (EDCシステムによる管理)
統計解析	臨床試験部	佐藤泰憲
監査	検討中	
試験薬提供者	(株)アールテックウエノ	

10. 引受企業・国際展開状況	
企業名・役割	(株)アールテックウエノが承認申請予定
利益相反関係	試験薬提供者 ・ (株)アールテックウエノ 研究資金 ・ (株)アールテックウエノ ・ 厚生労働科学研究費補助金 医療技術実用化総合研究事業(早期探索的・国際水準臨床研究事業)
展開国・承認状況	● 0.12%及び0.15%UF-021点眼液は既に緑内障・高眼圧症治療薬として国内外45か国で承認 ● 日本ではレスキュラ®0.12%点眼液が1994年に発売

C1214

家族性LCAT欠損症患者を適用対象としたLCAT遺伝子導入ヒト前脂肪細胞の自家移植に関する臨床試験

プロジェクト責任者 細胞治療内科学 教授 横手幸太郎
プロジェクトマネージャー 臨床試験部

永井榮一、山口宣子

2014年11月18日

1. 基本情報

プロジェクトのテーマ	家族性LCAT欠損症患者を適用対象としたLCAT遺伝子導入ヒト前脂肪細胞の自家移植に関する臨床試験
責任者	(所属)細胞治療内科学 教授 (氏名)横手幸太郎
対象疾患	家族性LCAT欠損症

2. 開発トラック

①医師主導治験(→企業治験・薬事承認)

3. 開発コンセプト

区分	再生医療等製品
想定される治療学的ポジション	これまで根治療法の存在しなかった家族性LCAT欠損症を対象として、遺伝子導入脂肪細胞の自家移植により欠損酵素であるLCATを持続的に血中に補充する新規の医薬品開発である。
開発の意義	①他に有効な治療法がない
優先審査	希少疾患

2