

さい帯血情報

自閉症スペクトラム障害に対する さい帯血を用いた 再生医療の有望な結果報告

-自家さい帯血投与により自閉症の症状改善が示唆(フェーズ I 試験)-

近年、自閉症スペクトラム障害 (ASD) に対し、細胞治療が新しい治療戦略として探究され、さい帯血を使ったASDの症状改善を目的とした複数の臨床試験が進行中です。今回は、デューク大学で実施されたASD患者25症例 (平均年齢4.6歳) のフェーズ I 試験の成績を紹介します。自家さい帯血の投与時、6ヶ月後、12ヶ月後において、副作用の有無や行動評価、機能検査が実施されました。その結果、小児ASDに対する自家さい帯血の投与は安全であり、実現可能な治療法であることが示唆されました。 <Stem Cell Translational Medicine 2017; 00:00-00www.StemCellTM.com>

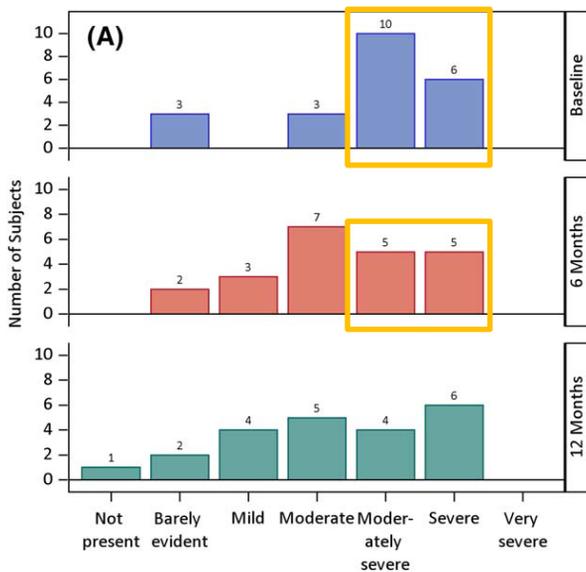
< 被験者の背景 >	
性、症例数 (%)	
女性	4 (16.0%)
男性	21 (84.0%)
年齢、平均(範囲)	4.62 (2.26-5.97)
人種、症例 (%)	
白人	22 (88%)
その他	3 (12%)
民族性、症例 (%)	
ヒスパニック(スペイン語系)	2 (8%)
その他	23 (92%)
ADOS (自閉症スコア)平均(範囲)	8 (6-10)
非言語知識、平均(範囲)	65 (22-123)
CGI-S(グローバル臨床症状)症例数 (%)	
まれに自閉症の症状	4 (16.0%)
軽度の症状	3 (12.0%)
中等度の症状	10 (40.0%)
重度の症状	8 (32.0%)

< 使用された さい帯血について >	
総細胞数 (x10 ⁸)	4.42 (1.53-12.28)
体重1kg あたりの投与細胞数 (x10 ⁶ /kg)	25.80 (9.97-80.80)
体重1kg あたりのCD34陽性細胞数 (x10 ⁵ / kg)	0.30 (0.1-4.2)
体重1kg あたりのコロニー形成細胞数 (/kg)	1225.50 (85.5-4620.0)

◆ 試験成績の概要（行動評価および印象尺度評価の要約）

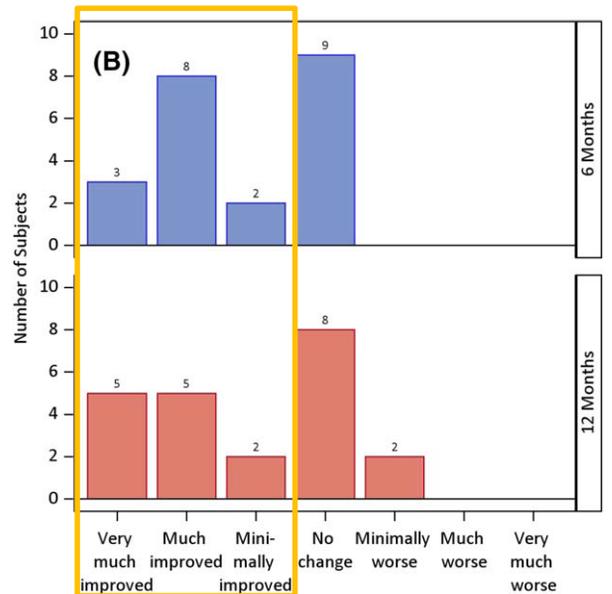
CGI (Clinical Global Impression Scale) : 臨床総合印象尺度

臨床上のスコアリング評価であり、ASDの主要症状の重症度とその変化を評価



A: 観察期間中の CGIの重症度分布

すべてのポイントで評価できる22症例についての CGIでは、被験者の多くは、中等度10例（43.5%）重症6例（26.1%）であったのに対し、6ヶ月後の評価では、中等度、重症例はそれぞれ22.7%に減少しています。

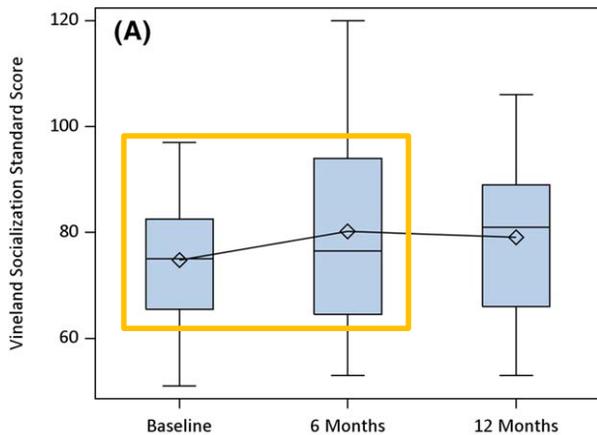


B: 投与前と比較した 6・12ヶ月後の CGI改善度

さい帯血投与6ヶ月後において、9例（40.9%）は変化がなかったものの、やや改善2例（9.1%）、改善8例（36.4%）、著明な改善3例（13.6%）と、有意差 ($p < 0.001$) のある結果でした。12ヶ月後も同等の結果です。

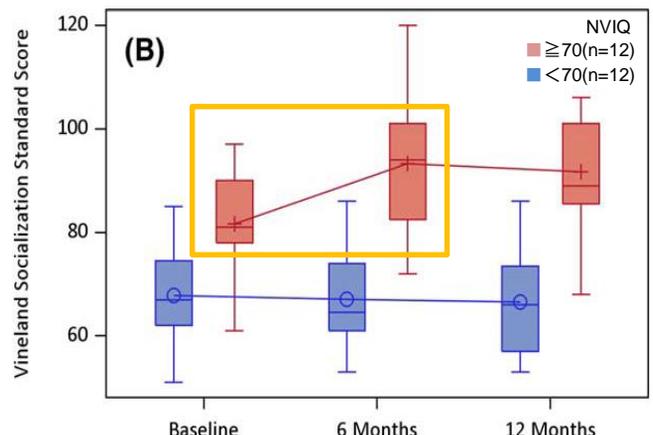
VABS-II : バインランド適応行動スケール標準スコア

社会性、コミュニケーション、順応的行動を評価



A: 被験者全体の VABS-II における社会性スコア

投与から6ヶ月後の評価では、有意差のあるスコアの増加を認めました。



B: NVIQ 別 VABS-II 社会性スコア

非言語性知能指数 (NVIQ) 別では、70以上の群において左図に一致するデータが得られました。

◆ 結論

自家さい帯血投与6ヶ月後の行動評価は著明な改善を示し、12ヶ月後も改善状態を維持していました。さらに、非言語性知能指数の評価も有意な改善を示しており、将来の臨床試験においても適性があることが確認されました。したがって、小児の自閉症スペクトラム障害の治療において自家さい帯血の投与（静注）は、安全であり また効果の期待できる治療法であると考えられます。