

ヒト羊膜基質使用ヒト（自己）口腔粘膜由来上皮細胞シート 「サクラシー」の製造販売承認取得について

京都府立医科大学で研究開発し、同附属病院において先進医療Bならびに医師主導治験（第Ⅲ相）を実施した「培養自家口腔粘膜上皮シート移植」は、2022年1月20日付で再生医療等製品「ヒト羊膜基質使用ヒト（自己）口腔粘膜由来上皮細胞シート」（販売名：サクラシー、製造販売会社：ひろさきLI株式会社）として、厚生労働省から製造販売承認を取得しました。角膜上皮幹細胞疲弊症の中でも、特に重症度が高い難治性眼表面疾患（スティーヴンス・ジョンソン症候群（SJS）、眼類天疱瘡、熱・化学外傷等）への新たな治療選択の道が開けたことをお知らせします。

本製品は京都府立医科大学発の再生医療製品であり、本学の視覚機能再生外科学（眼科学教室）が1990年代に文部科学省研究補助金により培養粘膜上皮シートの基礎研究を開始、2000年代に厚生労働省研究補助金により臨床研究を開始、高度視覚障害の治療への道を探りました。2008年からは神戸医療産業都市推進機構にも外部シーズとして支援いただき、共に実用化を進めました。厚生労働省・日本医療研究開発機構の事業として先進医療Bを実施、神戸医療産業都市推進機構における試験製品製造に成功し、医師主導治験に繋がりました。医師主導治験ではさらに京都大学医学部附属病院先端医療研究開発機構、国立長寿医療センターのご支援、ご協力をいただきました。また長年におよぶ臨床研究、臨床試験の実施では、SJS患者会より全面的に協力いただきました。

本再生医療の引き受け企業として、ひろさきLI株式会社（本社：青森県弘前市 代表取締役社長：町田容一郎）が尽力し、2021年3月31日にヒト羊膜^{※1}基質使用ヒト（自己）口腔粘膜由来上皮細胞シート（販売名「サクラシー」）の製造販売承認申請を行い、医薬品医療機器総合機構における審査を経て、この度2022年1月20日に新たな再生医療等製品として国内で正式に承認されました。

以上のように多くの機関、関係の方々のご支援をいただきましたことに、厚く御礼申し上げます。

対象となる疾患の中に指定難病であるスティーヴンス・ジョンソン症候群（SJS）、中毒性表皮壊死融解症（TEN）（SJSの重症型）、眼類天疱瘡（粘膜類天疱瘡の眼型）を含むことから、今後も医学研究を継続するとともに、安全な普及に向けた体制を構築する予定です。

※1 羊膜は、妊婦の子宮内にある胎盤の一部で、胎児を包み羊水を保持している薄い膜です。拒絶反応が起こりにくく炎症を抑制する性質があり、再生医療分野での新しい素材として応用が期待されています。

※2 角膜上皮幹細胞疲弊症とは、黒目を覆っている角膜上皮の幹細胞が障害を受けたために新たな角膜上皮が供給されず角膜が結膜上皮と結合組織で覆われて視力が著しく低下する疾患で、特に重度のものを難治性眼表面疾患といい、スティーヴンス・ジョンソン症候群、眼類天疱瘡、重症熱・化学外傷等に起因します。

製品概要は以下のとおりです（ひろさき LI 株式会社発表内容を転載）。

承認番号	30400FZX00001000
承認年月日	2022年1月20日
一般的名称	ヒト羊膜基質使用ヒト（自己）口腔粘膜由来上皮細胞シート
販売名	サクラーシー
効能、効果又は性能	角膜上皮幹細胞疲弊症における眼表面の癒着軽減
用法及び用量又は使用方法	<p>1. 本品の製造 患者の口腔内の頬粘膜部から、炎症等の病変がないことが確認できる部位の口腔粘膜組織を直径 6 mm、2～4 箇所から採取する。採取した口腔粘膜組織は、口腔粘膜組織輸送セットを用いて製造業者に輸送する。</p> <p>2. 本品の移植 眼表面の癒着を解除し、結膜癒着組織を可能な限り除去した後、口腔粘膜上皮細胞シートを露出した眼表面に縫合して移植する。癒着の程度や範囲に応じて、口腔粘膜上皮細胞シートを裁断した上で角膜部以外にも移植する。露出した眼表面が口腔粘膜上皮細胞シートより大きい場合は、羊膜移植を行った後に口腔粘膜上皮細胞シートを移植する。</p> <p>3. 本品の移植後 必要に応じて、以下を行う。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 治療用コンタクトレンズを装用する。 ・ 原疾患が眼類天疱瘡以外の場合には、シクロスポリンを1日量2～3 mg/kgを術翌日から経口投与する。なお、症状により適宜増減する。 <p>原疾患が眼類天疱瘡の場合には、シクロスポリンを1日量2～3 mg/kgを術翌日から経口投与及びシクロホスファミド（無水物換算）を50 mgを1日1回、術翌日から経口投与する。なお、症状により適宜増減する。</p>
条件及び期限付承認への該当性	条件及び期限付承認には該当せず、10年間の再審査対象として指定

培養自家口腔粘膜上皮シート移植の基礎ならびに臨床研究、先進医療 B、医師主導治験は以下の支援を受けて行われました。

- ・ 文部科学省科学研究費補助金
- ・ 厚生労働省科学研究費補助金
- ・ 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
臨床研究・治験推進事業
橋渡し研究戦略的推進プログラム（京都大学医学部附属病院先端医療研究開発機構）

共同研究機関

- ・ 神戸医療産業都市推進機構
- ・ 国立長寿医療研究センター

関連部門

- ・ 京都府立医科大学大学院医学研究科 視覚機能再生外科学
- ・ 京都府立医科大学大学院医学研究科 歯科口腔科学
- ・ 京都府立医科大学大学院医学研究科 女性生涯医科学
- ・ 京都府立医科大学大学院医学研究科 生物統計学
- ・ 京都府立医科大学大学院医学研究科 医療フロンティア展開学
- ・ 京都府立医科大学附属病院 臨床研究推進センター
- ・ 京都府立医科大学 組織（羊膜）バンク