

## 外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺に新たな治療選択肢 「アクーゴ®脳内移植用注」発売のお知らせ

サンバイオ株式会社(本社:東京都、代表取締役社長 森敬太、以下サンバイオ)は、本日、外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善を効能、効果又は性能とした細胞治療薬「アクーゴ®脳内移植用注」(一般名:バンデフィテムセル、以下「アクーゴ®」)の販売を開始したことをお知らせいたします。

外傷性脳損傷は、交通事故や転倒などで頭部に外から強い力が加わることで、脳機能に障害をもたらす疾患であり、その症状の現れ方は損傷部位や程度により多様であると報告されています<sup>1,2</sup>。また、外傷性脳損傷は単なる一過性の障害ではなく、慢性的な機能障害を伴う疾患であり、長期にわたり身体機能や認知機能、社会生活に影響を及ぼすことが知られており、大きなアンメットメディカル・ニーズが存在しています。

アクーゴ®は、外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺を対象とした細胞治療薬であり、2024年7月に日本において条件及び期限付き承認を取得しました。本製品は、健康なドナーの骨髄液から採取した間葉系幹細胞を培養した後、神経再生能力を高めるためのヒトNotch-1細胞内ドメイン遺伝子を導入して作られます。脳内の損傷した神経組織に移植することで、FGF-2(タンパク質の一種)等が放出され、損傷した神経細胞が本来持つ再生能力を促し、神経細胞の増殖・分化を促進する作用が示唆されています<sup>3,4</sup>。

代表取締役社長の森敬太は、次のように述べています。

「米国カリフォルニアで創業して以来、四半世紀を経て、日本の外傷性脳損傷の患者さんへ新たな治療選択肢をお届けできることを大変嬉しく思います。この成果を新たな出発点として、一人でも多くの外傷性脳損傷や脳梗塞の患者さんにご家族にとって前向きな一歩につながることを目指し、米国での展開や脳梗塞での適応拡大を当社の成長戦略の中核として位置づけ、引き続き力強く推進してまいります。」

また、本日、アクーゴ®の適正使用の推進を目的として、患者さん向けの「細胞治療電話相談窓口」ならびに「医療従事者向けサイト」を開設しました。当社は、アクーゴ®を必要とする患者さんが、適切に医療機関につながる環境整備および適正使用を支える体制整備を進め、医療現場での円滑な導入に取り組んでまいります。

### **細胞治療相談窓口の開設について(患者さん・ご家族向け)**

外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の患者さんにおいては、細胞治療対応可能な医療機関を見つけにくい場合があるなど、適切な受診につながりにくいケースも指摘されています。このような状況を踏まえ、当社は、アクーゴ®の投与を希望または検討される患者さんが、細胞治療の概要や本治療を受けるまでの流れに関して理解を深めた上で、適切な形で医療機関を受診できるよう支援することを目的に、電話相談窓口を開設しました。なお、本窓口は特定の治療を推奨するものではなく、個別の診断や治療方針の提案、本製品の使用の可否の判断は行いません。患者さんが医療機関へ相談できるよう、適切な情報提供を行います。

#### **【細胞治療電話相談窓口】**

- ・ 対象:患者さん・ご家族
- ・ 窓口電話番号:フリーダイヤル0120-653481
- ・ 受付時間:平日9:00~18:00(土日祝除く)  
※1回線のため、混みあってつながりにくい場合があります。

## 医療従事者向けサイトの開設について

医療従事者向けに、アクーゴ®に関する情報提供および医療連携の支援を目的とした専用サイトを開設しました。本サイトでは、情報提供プラットフォームとして、主に下記の内容を掲載しています。なお、医療従事者からのアクーゴ®に関する製品情報および各種お問い合わせに対応する窓口として、メディカルインフォメーションセンターを設置しました。電話番号等の詳細は、医療従事者向けサイトに掲載しています。また、本サイトは医療従事者のみアクセス可能で、患者さんやご家族、一般の方は閲覧いただけません。

### 【医療従事者向けサイト】

(<https://akuugo.jp/>)

- アクーゴ®の基本情報(臨床試験情報、インフォメーション等)
- アクーゴ治療施設一覧
- 投与施設の要件および投与施設となるためのe-learningコンテンツ
- アクーゴ投与に関する医師および細胞調製要件

以上

## 参考情報

### 製品概要

販売名	アクーゴ®脳内移植用注
一般名	バンデフィテムセル
効能、効果又は性能	外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善
薬価	72,716,528円
用法及び用量 又は使用方法	<p>通常、成人にはヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞として、生細胞<math>5 \times 10^6</math>個(300 <math>\mu</math> L)の細胞調製液を、専用投与機器セットを用いた定位脳手術により、損傷した組織の周辺部に移植する。</p> <p>頭蓋骨の小孔1箇所を通り損傷周辺部に至る3つの移植経路から、1移植経路あたり細胞懸濁液100 <math>\mu</math> Lを最深部から5~6 mm間隔で5箇所、1箇所あたり20 <math>\mu</math> L移植する。注入速度は約10 <math>\mu</math> L/minとする。移植に際しては、以下を行うこと。</p> <ol style="list-style-type: none"><li>手術開始前に脳神経外科用侵襲式頭部固定具に専用投与機器セットのガイド&amp;ストップ、スタイルットを備えたインサーターを取り付ける。</li><li>脳内移植用細胞剤を融解し、専用調製液を用いて洗浄した後、移植濃度<math>1.67 \times 10^6</math>個/100 <math>\mu</math> Lになるように専用調製液で調製し、細胞懸濁液とする。専用投与機器セットの投与カニューラを固定したマイクロシリンジを専用調製液により清浄化した後、細胞懸濁液を充填する。</li></ol>
有効性評価の概要	<p>国際共同第II相臨床試験(TBI-01試験:米国、日本、ウクライナ)</p> <p>多施設共同偽手術対照無作為化二重盲検比較試験;本品群及び偽手術群に3:1で無作為に割付(本品群:<math>2.5 \times 10^6</math>個群、<math>5.0 \times 10^6</math>個群、<math>10.0 \times 10^6</math>個群)</p> <p>試験成績:</p> <p>&lt;有効性&gt; 主要評価項目の24週目におけるFMMSのベースラインからの変化量は、各用量群を併合したSB623群(46例)で<math>8.3 \pm 10.6</math>、偽手術群(15例)で<math>2.3 \pm 4.7</math>と、統計学的に有意な差が認められた(平均値±標準偏差、<math>p=0.0401</math>)。</p>
製造販売承認取得日	2024年7月31日

製品画像



細胞バイアル



ドライシッパー



ハードケース



専用調製液100mL(個別包装単位)



専用調製液100mL(販売包装単位)



専用投与機器セット



専用投与機器セット(販売包装単位)

## 外傷性脳損傷について

外傷性脳損傷は、世界中の主な死因および障害の原因の一つです。2016年の世界の急性外傷性脳損傷の新規患者数は2,700万人(推定)、外傷性脳損傷に続発する慢性障害の患者数は5,550万人(推定)でした<sup>5</sup>。外傷性脳損傷および外傷性脳損傷に続発する長期に渡る運動機能障害は、患者の自立、雇用、およびQOLを著しく損ない、社会的・経済的観点からも各国の医療システムに大きな負担をもたらしています。米国では、外傷性脳損傷で入院し生存した患者の約43%が長期の運動機能障害を経験しており<sup>6</sup>、317万人が外傷性脳損傷に続発する運動機能障害を長期に抱えて生活していると推定されています<sup>7</sup>。

## アクーゴ®脳内移植用注について

アクーゴ®脳内移植用注は、健康成人骨髄液由来の間葉系間質細胞を加工・培養して作製されたヒト(他家)骨髄由来加工間葉系幹細胞(国際一般名:バンデフィテムセル)です。脳内の損傷した神経組織に移植するとFGF-2(タンパク質の一種)が放出され、損傷した神経細胞が本来持つ再生能力を促し、神経細胞の増殖・分化を促進する作用が示唆されています。バンデフィテムセル(SB623)は、厚生労働省より再生医療等製品として「先駆け審査指定制度」の対象品目として指定され、2024年7月31日に条件及び期限付製造販売承認を取得しました。米国では、米国食品医薬品局(U.S. Food and Drug Administration:FDA)よりRMAT(Regenerative Medicine Advanced Therapy)指定を、欧州では欧州医薬品庁(European Medicines Agency:EMA)より先端医療医薬品(Advanced Therapy Medicinal Product:ATMP)の指定を受けています。

## サンバイオについて

サンバイオは、再生医療分野でのグローバルリーダーを目指すというビジョンを掲げ、2001年に米国・カリフォルニア州で創業し、再生医療等製品の研究、開発、製造及び販売を手掛ける事業を展開しています。既存の医療・医薬品では対処できず、アンメットメディカル・ニーズが高い中枢神経系領域の疾患を主な対象として、研究開発及び事業化を進めております。東京に本社、カリフォルニア州に子会社を置くサンバイオグループの詳細は、<https://www.sanbio.com>にてご覧いただけます。

## <出典>

- <sup>1</sup> Dang B, Chen W, He W, Chen G. Rehabilitation treatment and progress of traumatic brain injury dysfunction. *Neural Plast.* 2017;2017:1582182.
- <sup>2</sup> Dams-O'Connor K, Juengst SB, Bogner J, Corrigan JD, Giacino JT, et al. Traumatic brain injury as a chronic disease: insights from the United States Traumatic Brain Injury Model Systems Research Program. *Lancet Neurol.* 2023;22(6):517-528.
- <sup>3</sup> 社内資料:神経細胞活性化比較及び可溶性神経因性メディエーターに対するSB623及びMSCの影響(試験番号PSP104)(2024年7月31日承認、CTD 2.6.2.2.1.1)
- <sup>4</sup> 社内資料:SB623の細胞外マトリックス(ECM)の神経保護特性(試験番号PSP045)(2024年7月31日承認、CTD 2.6.2.2.1.3)
- <sup>5</sup> James SL, et al. "Global, regional, and national burden of traumatic brain injury and spinal cord injury, 1990-2016: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2016." *Lancet Neurol* 2019;18:56-87.
- <sup>6</sup> Selassie AW, et al. "Incidence of long-term disability following traumatic brain injury hospitalization, U.S.", 2003. *J Head Trauma Rehabil* 2008;23:123-31
- <sup>7</sup> Zaloshnja E, Miller T, Langlois JA, Selassie AW. Prevalence of long-term disability from traumatic brain injury in the civilian population of the United States, 2005. *J Head Trauma Rehabil.* 2008 Nov-Dec;23(6):394-400.

## 本件に関するお問い合わせ先

サンバイオ株式会社  
管理本部  
メール:info@sanbio.com