

難治性全身型重症筋無力症を対象に、  
CAR-T 細胞療法の安全性、有効性、及び細胞動態を評価する非盲検試験

## 患者様ご紹介のお願い

京都大学医学部附属病院 脳神経内科

治験責任医師 木村 公俊

拝啓

時下ますますご清祥の段、お慶び申し上げます。平素は格別のご高配を賜り、厚く御礼申し上げます。さて、このたび当院におきまして、表題の試験を開始する運びとなりました。下記の通り、本試験に該当する患者様が貴院にいらっしゃいましたら、ご連絡いただけますと幸いです。

ご多忙中お手数をおかけして誠に恐縮ではございますが、ご高配のほどよろしくお願い申し上げます。

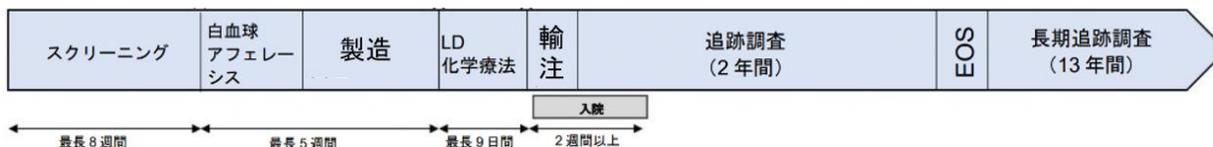
敬具

**対象疾患**：難治性全身型重症筋無力症患者

**治験登録期間**：2027年6月まで（予定）

**目標登録例数**：日本から約2名

### 【治験デザイン】



※LD化学療法：フルダラビン、シクロフォスファミド

### 【ポイント】

- 非盲検試験，介入試験（全例実薬です）
- 治験製品投与：CAR-T細胞療法
- 主な選択・除外基準を次頁に記載しております。

## 主な選択基準

- 同意が得られ、かつ治験責任（分担）医師と十分に意思の疎通ができ、本治験の要件を遵守できる患者
- 十分な腎機能、肝機能、心機能、血液機能、及び肺機能を有する18～65歳の男女
- **スクリーニング時に AChR 抗体又は MuSK 抗体が陽性**で、かつ以下のいずれかに該当する、gMG の確定診断を受けた患者
  - ・過去に反復神経刺激検査若しくは単線維筋電図検査で神経筋伝達の異常所見が認められた
  - ・過去にアセチルコリンエステラーゼ検査で陽性と判定された
  - ・経口アセチルコリンエステラーゼ阻害薬で重症筋無力症（MG）の徴候が改善した（担当医の評価）
- **スクリーニング時に MGFA Class III～IVa** と評価された全身型重症筋無力症の患者
- **以下に定義する難治性 gMG の患者**：2種類以上の非ステロイド性免疫抑制薬による適切な治療を十分な用量及び治療期間で実施したにもかかわらず、スクリーニング時の MG-ADL スコアが6点以上の患者
  - 具体的には、1種類以上の免疫調節作用若しくはステロイド減量効果のある経口薬（例：アザチオプリン、ミコフェノール酸モフェチル、タクロリムス）が無効であり、かつ1種類の既承認の抗 C5 補体抗体（例：エクリズマブ、ラプリズマブ）、若しくは既承認の FcRn 拮抗薬、若しくはリツキシマブのいずれかが無効であった患者、又はスクリーニング前12ヵ月以内に筋無力症の症状増悪／クレーゼに対して2回以上のレスキュー治療（血漿交換／免疫吸着療法又はIVIg療法）を要した患者
- コルチコステロイドの長期投与を受けている場合、白血球アフェレーシスの1週間以上前にプレドニゾロン換算で最大用量10 mg/日（又は相当量）まで漸減可能で、これに同意できる患者
  - ※漸減時にはIVIgを施行して悪化を防ぐ予定です。

## 主な除外基準

- （スクリーニング時点で）眼筋型重症筋無力症（MGFA Class I）の患者、軽度の症状（MGFA II）が認められる患者、重度の球症状又はMGクレーゼが認められる患者、MGFA Class IVb 又は V の患者
- 臨床的に問題となる活動性、日和見性、慢性、又は再発性感染（B型肝炎、C型肝炎、HIV、又は結核陽性を含む）を有する患者
  - ※キャリア状態のみの方は参加できる可能性があります。
- 悪性腫瘍（器官系を問わない）の過去5年以内の既往歴（既治療又は未治療）を有する患者（ただし、完全切除した皮膚の限局性基底細胞癌、又は子宮頸部上皮内癌、又は切除した非浸潤性悪性ポリープを除く）

作成日：2025年3月11日

- 胸腺腫を指摘されている患者，又はスクリーニング前12ヵ月以内に胸腺摘除術の既往がある患者（12ヵ月以上前に切除され、残存が指摘されていない方は参加可能です）
- 抗CD19療法，養子T細胞療法，又は何らかの遺伝子療法製品（CAR-T細胞療法等）による治療歴を有する患者
- 治験実施計画書に従って被験者への投与が予定されているいずれかの製品（例：CAR-T細胞療法，トシリズムブ，LD化学療法）とその成分に対する過敏症及び／又は禁忌を有するか，治験責任（分担）医師の判断でLD化学療法を施行できない状態にある患者

上記以外にも選択・除外基準がございます。

治験製品は、治験依頼者から無償で提供されます。基本的に、治験に際しての入院・通院診療は、当院で施行させていただきます。

該当する患者様がいらっしゃいましたら、治験責任医師の外来へご紹介ください。

なお、その際の初診料などは、治験へのエントリーの有無にかかわらず、患者様の保険診療でご対応いただくことになる点をご了承ください。

診療情報提供書をお送りいただく際には、既往歴、合併症、アレルギー歴、併用薬の情報も記載してください。

<お問い合わせ先>

京都大学医学部附属病院

〒606-8507 京都市左京区聖護院川原町 54

治験責任医師：京都大学医学部附属病院 脳神経内科 木村公俊