

Freed CR, et al.

重症パーキンソン病に対する胚由来ドパミン・ニューロン移植（福島雅典監訳）

NEJM 2001; 344(10): 710-9.

背景：パーキンソン病患者の脳へのヒト胎児由来のドパミン・ニューロンの移植はオープン臨床試験で利益があると証明されている。しかしこの介入が比較試験においてシャム手術よりも効果的かどうかは知られていない。

方法：34歳から75歳までの重症パーキンソン病（平均罹患年数14年）患者40症例に対し、神経細胞を移植する群とシャム手術を行う群とにランダムに割り付けた。全症例を二重盲検法で1年間追跡した。移植を行った症例については、4つの胎児から得た中脳組織を培養し両側の被核に移植した。シャム手術を行った症例については、頭蓋骨にドリルで穴を開けたが、硬膜を貫通させなかった。主要評価項目は、1年後の疾患の重症度の変化を主観的に総合評価したものであり、-3.0から3.0までのスケールで、症状の悪化はマイナス、改善はプラスで評価された。

結果：1年後の時点での改善または悪化に関する総合評価のスコアの平均（ \pm SD）は、移植群では 0.0 ± 2.1 、シャム手術群では -0.4 ± 1.7 であった。比較的低年齢（60歳以下）の症例においては、朝の投薬を行う前に標準的なパーキンソン病のテストを行ったが、シャム手術群に比較して移植群にて有意な改善がみられた（UPDRSでは $P=0.01$ 、Schwab and England scoreにおいて $P=0.006$ ）。それよりも高齢の患者では、有意な改善はみられなかった。移植群の20症例中17症例では移植されたニューロンからの神経線維の伸展が、PETでの ^{18}F -fluorodopaの取り込みや病理解剖で確認された。移植を行った症例の15%で、手術後1年間では改善がみられたが、その後はレボドパの投与を中止または減量を行ったにも関わらず、ジストニアやジスキネジアが再燃した。

結論：重症パーキンソン病患者に対してヒト胎児由来ドパミン・ニューロンを移植すると、生着し、比較的低年齢層の患者には一部臨床的に利益ある結果が得られたが、高齢の患者にとっては利益は得られなかった。