

# アムシェプリ<sup>®</sup>の治療を ご検討されている 患者さんとそのご家族へ

監修：京都大学大学院医学研究科 人間健康科学系専攻近未来システム・技術創造部門 教授  
澤本 伸克 先生



## はじめに

アムシェプリ®は、パーキンソン病の治療における新たな選択肢の1つとして2026年3月に条件及び期限付承認された、再生医療等製品です。パーキンソン病の治療を目的とし、脳の働きを助けるドパミンという物質を作る「神経のもとになる細胞」が入っています。

パーキンソン病では、ドパミンを作る神経細胞が減ると、体が思うように動かなくなるなどの症状が出ます。この治療では、失われた神経細胞の代わりに細胞を脳に移植することで、ドパミンを増やし、パーキンソン病の症状を改善することを目指しています。

この冊子では、アムシェプリ®の特徴や治療の流れ、治療前後の注意点、副作用などをご紹介します。「細胞の移植」とはどのような治療なのか、治療を始める前にこの冊子をよくお読みいただき、主治医とよく話し合ってください。アムシェプリ®による治療について分からないことや不安なことなどがありましたら、医師、薬剤師、看護師にご相談ください。

### 監修

京都大学大学院医学研究科

人間健康科学系専攻近未来システム・技術創造部門 教授

澤本 伸克 先生

# もくじ

パーキンソン病とは

～治療経過～

P3-4



パーキンソン病に対する細胞移植治療

P5-6



アムシェプリ®とは

P7-8



アムシェプリ®を用いた細胞移植治療について

P9-12



治療後の注意点と副作用

P13-14



パーキンソン病の患者さんが受けられる  
代表的な公的支援制度について

P15-17



# パーキンソン病とは

## ～治療経過～

### パーキンソン病とは

パーキンソン病は、ドパミンという物質を作る神経細胞が徐々に減少していくことで、運動症状を含むさまざまな症状がおこる疾患です。ドパミンを増やす薬などを服用することで症状は改善しますが、病気の進行とともに薬の効かない時間帯や新たな運動症状があらわれたりします。

### パーキンソン病の治療経過

早期



パーキンソン病では、薬による治療を始めてしばらくの間、お薬がよく効いて症状が安定する時期があります。この時期は「ハネムーン期」と呼ばれ、一般的には3～5年ほど続くといわれています。

進行期



治療開始から5年ほど経過すると、これまでになかった運動症状があらわれたり、薬が効かない時間帯が発生して、動きが悪くなったりします。このような症状を「運動合併症」といいます。

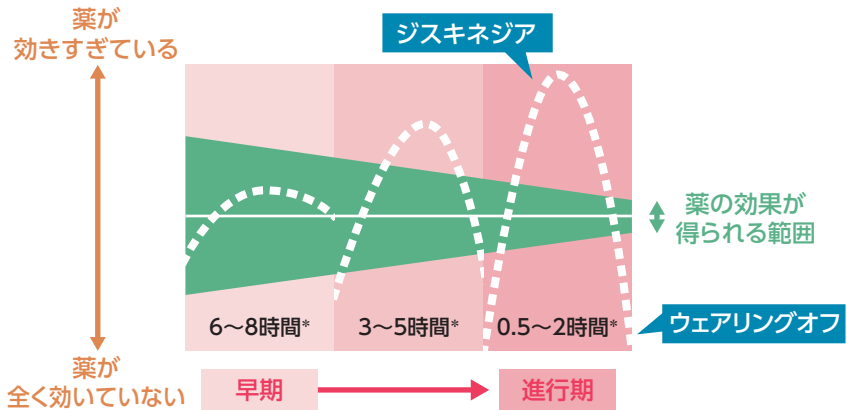
### なぜ運動合併症があらわれるのでしょうか？

運動合併症の背景には、次のような変化があります。

- 病気の経過とともに、薬の効果が以前より長く続きにくくなります
- 適切な効果が得られる範囲（治療域）も次第に狭くなっていきます
- そのため、薬の効き方が不安定になり、症状が変動しやすくなります

その結果、薬が効きすぎる時間帯や、逆に効きにくい時間帯が生じ、動きに支障が出てしまうのです（図）。

## 図 病期の進行と薬の効果について



\*薬の効果が持続している時間

Jankovic J.: Mov Disord. 20 Suppl 11:S11, 2005 より作成

## 運動合併症の例

### ①ジスキネジア

手足や肩がぐねぐね動く、体幹が前後に揺れる、口や舌がもぐもぐ動くなど、体が勝手に動いてしまう症状をいいます。



薬が効きすぎる

### ②ウェアリングオフ

薬を飲んでから次の服薬時間までの間に、薬の効果が弱まり、体の動かしにくさなどの症状があらわれることをいいます。



薬が効いていない

運動合併症によって日常生活に支障が出てきた場合には、薬の調整に加えて、手術療法など他の治療法を検討することもあります。

# パーキンソン病に対する 細胞移植治療

## 細胞移植治療について

細胞移植治療は、脳内で減少したドーパミン神経細胞を補い、失われた機能を回復させることで、根本的な症状改善を目的としています。

### <過去の取り組みと課題>

細胞移植治療は、これまで日本では行われてこなかった治療法ですが、欧米では1980年代から2000年代にかけて、中絶された胎児の細胞を用いた移植治療の臨床研究が行われてきました。一定の効果も報告されましたが、次のような課題もありました。

- ・胎児の細胞を用いることの倫理的な問題
- ・移植片誘発ジスキネジア※のおそれ

※移植した細胞によって誘発されるジスキネジア。原因ははっきりとは分かっておりませんが、移植細胞に混入した別の神経細胞に起因する可能性が報告されています<sup>1)</sup>。

1) Politis M, et al. : Mov Disord. 26(11) : 1997, 2011

### <現在の細胞移植治療>

2000年代以降、ヒトES細胞やヒトiPS細胞(右ページ参照)の研究が進み、倫理的な問題や供給量の問題が少ない、より安全な細胞製品の開発が進められてきました。2018年には京都大学医学部附属病院でヒトiPS細胞をもとに作製したドーパミン神経前駆細胞※を移植する治験(京大治験)が開始され、2025年にその結果が報告されました<sup>2)</sup>。2026年3月には京大治験のデータをもとに、アムシェプリ<sup>®</sup>が条件及び期限付承認され、新たな治療の選択肢となっています。

※ドーパミン神経前駆細胞：ドーパミンを産生し、分泌する神経のもとになる細胞

2) Sawamoto N, et al. : Nature. 641(8064) : 971, 2025

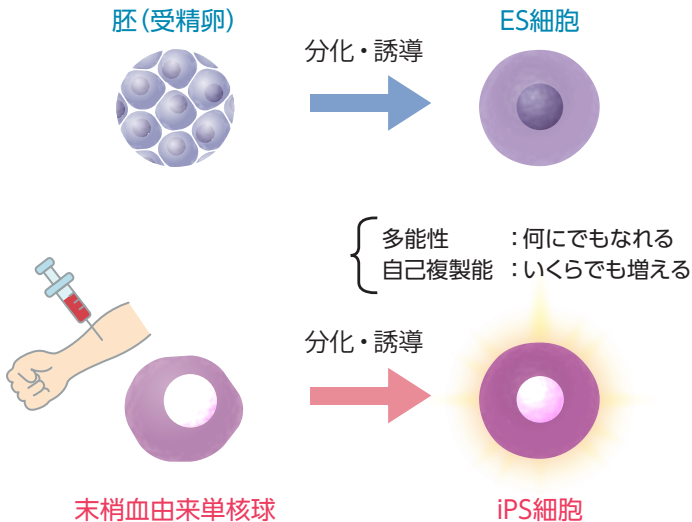


## ES細胞、iPS細胞とは？

ES細胞とiPS細胞はともに、人工的につくられた、**多能性**(なににでもなれる能力)と**自己複製能**(いくらでも増えることができる能力)をもった細胞です。その起源の違いによって、受精卵(赤ちゃんのもとになる細胞)からつくられたのがES細胞、ヒトの血液や皮膚などの体細胞を受精卵のような状態に戻したのがiPS細胞と区別されています。

iPS細胞はES細胞と異なり、ヒト受精卵由来ではないため、iPS細胞の方が倫理的な問題が少ないことが利点とされています。

### 図 2つの多能性幹細胞



(参考) 森美飛鳥: 臨床神経学 59(3): 119, 2019  
青井貴之: 肝胆脾 65(1): 13, 2012

# アムシェプリ<sup>®</sup>とは

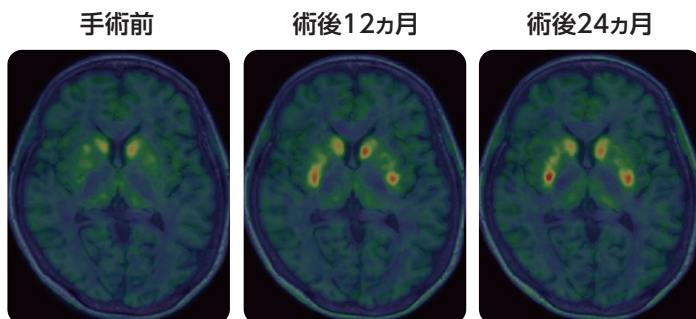
## アムシェプリ<sup>®</sup>の原理

ヒト末梢血由来のiPS細胞からつくられたドパミン神経前駆細胞を脳の中の「被殻(ひかく)」という場所に移植することで、あらたにドパミンが産生されます。本製品による治療では、移植した部分のドパミンの量を増やし、それによって既存のドパミン補充療法の効果の維持や改善を目的としています。

### 検査画像からみる手術前後のドパミン量の変化

下図はアムシェプリ<sup>®</sup>の移植術前後に行った<sup>18</sup>F-DOPA PETという検査の画像です。この検査により、移植されたiPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞が、実際に脳内でドパミンを産生しているのがわかります。

手術前には緑色の部分が多く、ドパミンが十分に作られていないのに対し、術後には、黄色や赤色の部分が増え、ドパミン産生が増加していることがわかります。



Sawamoto N, et al. : Nature. 641 (8064) : 971, 2025



## 治療の対象となる方

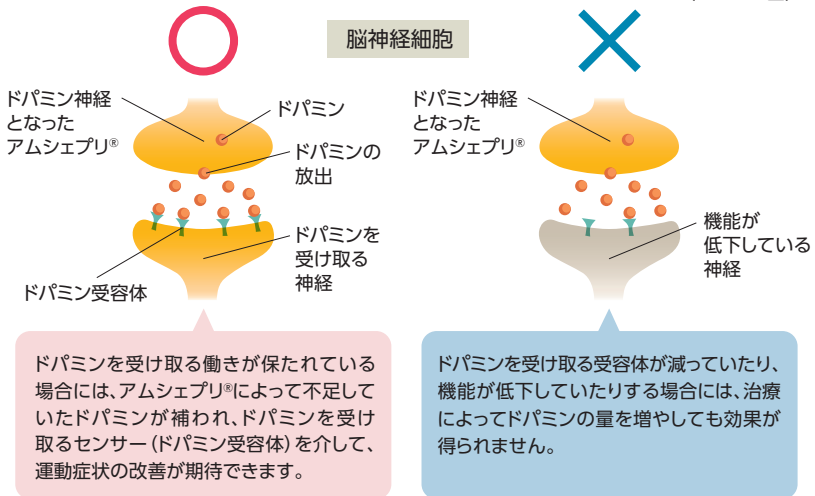
レボドパ含有製剤\*を含む既存の薬物療法では十分な運動症状の改善が得られないパーキンソン病の患者さんが対象となります。

ただし、医療機関でドパミンに対する反応性(下図)などを確認し、患者さんの年齢や既往歴、合併症などを総合的に考慮したうえで、最終的に対象となるかどうかを医師が判断します。

※レボドパ含有製剤：レボドパを主成分として含むお薬のことです。脳内へ移行しドパミンへ変化して脳内のドパミン量を増やすことでパーキンソン病の症状を改善します。

### アムシェプリ®の治療対象になる場合、対象にならない場合

(イメージ図)



ドパミンの反応性を確認するなど適切な検査を実施して、機能している細胞や反応性をよく見極める必要があります。

※治療の対象となる患者さんは医師によって判断されます。詳細は医師にご確認ください。

# アムシェプリ<sup>®</sup>を用いた 細胞移植治療について

## ① 治療の開始までの流れ

治療を受けるにあたっては事前に準備が必要です。予め必要な検査等を実施する必要があるため、医師の指示に従ってください。

手術当日の  
3ヵ月ほど前より

- 手術についての説明
- 手術日の確定

手術までに

- 手術への同意
- 術前検査

手術当日

この治療に使う細胞は、生産数に限りがあり、決まった日にしか移植手術ができません。

製品に細菌やウイルスが混入しないようにさまざまな検査（無菌試験など）を実施していますが、一部の無菌試験の結果は、手術後に判明します。

## この治療にはいくつかの注意点が 있습니다

- ☑ 2026年3月時点で、70歳を超える方への治療経験はありません。
- ☑ この治療は、条件及び期限付承認制度に基づいて行われており、治療後も、効果や安全性を確認するための調査や試験が実施されています。
- ☑ アムシェプリ<sup>®</sup>の製造過程では、感染症に対する安全対策を講じていますが、ヒト由来の細胞を原材料としているため、感染症のリスクを完全になくすることはできません。治療の後に、検査結果に応じた対処が必要となる場合がありますのでご承知おきください。（副作用については13ページをご参照ください。）

この治療を受けるかどうかは、医師とよく相談し、ご自身の体の状態や生活のことを考えながら、納得したうえで決めていただくことが大切です。

## ②手術前のお薬について

### ● 術前の抗パーキンソン病薬の服薬について

服薬は中止せず、手術当日の朝は、少量の水で内服します。

### ● その他の薬剤について

その他の薬剤の休薬の必要性については、医師の指示に従ってください。

### ● 免疫抑制剤について

移植された細胞が、もともと体に存在している免疫細胞によって排除される反応(拒絶反応)が生じる可能性があるので、手術当日の朝から免疫抑制剤の服用を開始します。

服用量や日常生活での注意事項については医師の指示に従ってください。



お薬の服用については、  
必ず医師の指示に従って  
ください。

# アムシェプリ<sup>®</sup>を用いた 細胞移植治療について

## ③手術当日の流れ

### 1 細胞の移植位置を決める

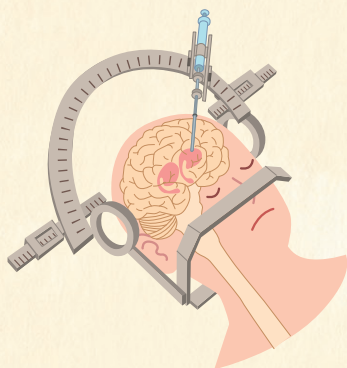
細胞を移植する部位は、脳の中の中でも小さな場所であるため、正確に位置を定めて手術を行う必要があります。そのため、定位脳手術用のフレームを装着し※、CT画像を撮影します。事前に行った検査結果と組み合わせて、正確な移植位置を決定します。

※使用する器材や準備方法は、施設によって異なる場合があります。



### 2 手術の実施 (定位脳手術)

頭蓋骨に1円玉くらい(約10mm～20mm)の穴をあけ、専用の器具を使って細胞移植手術を実施します。



## ④手術後のフォローについて

- 手術当日より服用を開始する免疫抑制剤は、手術後1年3ヵ月（標準期間として）は継続する必要があります。必ず医師の指示に従って継続してください。
- 移植された細胞が拒絶反応を起こしていないか、異常に大きくなっていないか、正しく機能しているかなどを、検査によって確認する必要があります。検査の種類やタイミングについてはそれぞれの目的によって異なるため、医師の指示に従って、必ず検査を受けるようにしてください。



移植手術（定位脳手術）に伴う合併症として、手術後に以下の症状があらわれる場合があります。

- ・脳内出血
- ・手術部位（傷口・脳内）の感染 等

# 治療後の注意点と副作用

## 臨床試験での副作用発現状況

国内の臨床試験では、移植後2年間の観察中に、アムシェプリ®との関連が疑われる副作用として、7名中1名に筋緊張\*とジストニア\*\*がみられました。入院に至るような重い副作用はみられませんでした。

\* 筋緊張：一般に、筋肉がこわばって動かしにくい状態

\*\*ジストニア：筋肉が自分の意思とは関係なく、ある程度持続的に、あるいは間欠的に収縮し、異常な運動を起こしてしまう状態

## アムシェプリ®による治療によって起こる可能性のある副作用

国内臨床試験ではみられていませんが、アムシェプリ®の性質上、以下のような副作用があらわれる可能性があります。

### 感染症

アムシェプリ®による治療は感染症のリスクを伴うため（※9ページ参照）、移植後に発熱など感染症と思われる症状があらわれる可能性があります。症状に応じて、抗生物質の投与など必要な処置をとる場合がありますので、必ず医師の指示に従ってください。

### 過敏症

アムシェプリ®の原材料などの成分に反応して、アレルギー症状があらわれる可能性があります。その場合は、症状に応じて医師が適切な処置を行います。

### 拒絶反応

アムシェプリ®はご自身の細胞ではなく、別の方から提供された細胞を元に製造された製品です。移植された細胞が、もともと体に存在している免疫細胞によって排除される反応（拒絶反応）を予防するために、アムシェプリ®の移植前から移植後一定期間、免疫抑制剤を服用していただきます。服用方法や服用期間については、医師の指示に従ってください（※10ページ参照）。



### 腫瘍形成

アムシェプリ®はiPS細胞由来の製品であり、理論上、移植した細胞が体内で増えてかたまりを作り、大きくなる可能性を完全に否定することはできません。また、かたまりが大きくなり周りの組織を圧迫すると、意識がぼんやりする、手足が動かしにくくなるなどの神経系の症状が出る可能性もあります。移植した細胞の変化をできるだけ早くとらえるために、アムシェプリ®の移植後は、MRI等の画像検査を定期的に行います。

### 精神症状

移植した細胞のはたらきにより脳内でドーパミンが増えすぎると、ドーパミンの作用により実際にはないものが見える(幻覚)、事実と違うことを強く思い込む(妄想)、混乱する(錯乱)、気分が落ち込む(抑うつ)などの症状が出る可能性があります。

精神症状はご自身よりもご家族や周囲の方が症状に気づくこともあります。ご家族や周囲の方は、患者さんご本人に治療前と比べて変わった様子がないか、注意してみてくださいようお願いします。

---

気になる症状があらわれた場合には、  
速やかに医師、薬剤師、看護師にお知らせください。

---

### MEMO

.....

.....

.....

.....

.....

# パーキンソン病の患者さんが受けられる 代表的な公的支援制度について

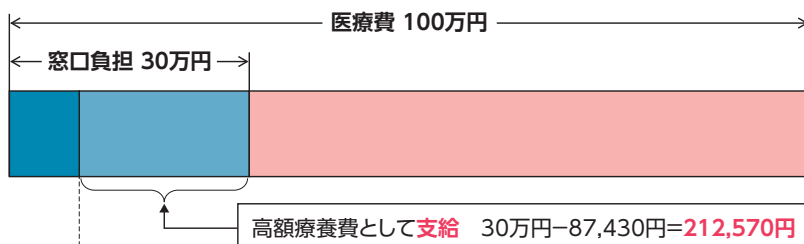
## 医療費の負担を軽減する制度

### ◆高額療養費制度

医療費の家計負担が重くならないよう、医療機関や薬局の窓口で支払う医療費が1ヵ月の上限額を超えた場合、その超えた額を支給する「高額療養費制度」(こうがくりょうようひせいど)があります。(入院時の食費負担や差額ベッド等は含みません。)

上限額は、年齢や所得に応じて定められており、いくつかの条件を満たすことにより、負担をさらに軽減するしくみも設けられています。

〈例〉70歳以上・年収約370万円～770万円の場合(3割負担)  
100万円の医療費で、窓口の負担(3割)が30万円かかる場合



自己負担の上限額  $80,100円 + (100万円 - 267,000円) \times 1\% = 87,430円$

➡ 212,570円を高額医療費として支給し、**実際の自己負担は87,430円**となります。

(2026年3月時点)

2026年3月現在、高額療養費制度の見直しが議論されています。最新の情報については厚生労働省のホームページでご確認ください。

(参考) 難病情報センター：指定難病患者への医療費助成制度のご案内  
<https://www.nanbyou.or.jp/entry/5460> (2026/2/24閲覧)

## ◆難病医療費助成制度

指定難病は、個々の疾病ごとに確立された対象疾病の診断基準とそれぞれの疾病の特性に応じた重症度分類が設定されています。

指定難病と診断され、次に該当した場合は「難病法」による医療費助成を受けることができます。

(1)重症度分類に照らして病状の程度が一定程度以上

(2)軽症高額該当

重症度分類を満たさないものの、月ごとの医療費総額が33,330円を超える月が年間3月以上ある場合

指定難病の医療費助成を受けるには、特定医療費(指定難病)受給者証(以下「医療受給者証」)が必要です。難病指定医が作成した臨床調査個人票(診断書)と次の書類を合わせて、都道府県・指定都市の窓口で医療費助成の申請をします。申請時に個人番号(マイナンバー)を利用すると提出書類を省略できる場合があります。詳しくは、お住まいの都道府県・指定都市の窓口へお問い合わせください。

### ●申請から医療受給者証交付、治療までの流れ



(参考) 厚生労働省：高額療養費制度を利用される皆さまへ  
[https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou\\_iryuu/iryuhoken/juuyou/kougakuiryuu/index.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iryuhoken/juuyou/kougakuiryuu/index.html)  
(2026/2/24閲覧)

# パーキンソン病の患者さんが受けられる 代表的な公的支援制度について

## 日常生活をサポートする制度

### ◆介護保険サービス

65歳以上で要介護・要支援の認定を受けた方、40～64歳で医療保険に加入している方は、パーキンソン病が原因となって介護が必要であると認定された場合に、介護保険制度を利用することができます。訪問介護や居宅療養管理指導などのサービスを1割または2割の費用負担で受けられます。

### ◆障害福祉サービス

一定の障害のある方が、住む場所などの「日常生活」と仕事などの「社会生活」に対して各種サービスを受けることができます。

### ◆身体障害者手帳

身体障害者福祉法で定める基準に該当する場合に取得できます。障害の等級に応じて交通機関の割引、税金の減免、医療費助成、補装具費の支給などが受けられます。また、障害者手帳をお持ちの方は障害者雇用の求人に応募することができます。



※地域によって受けられる制度の基準が異なります。詳しくは市区町村の担当窓口や最寄りの保健所などにお問い合わせください。

# MEMO

A series of horizontal dashed lines for writing.



「パーキンソン病ステーション」ではパーキンソン病の基本的な知識から、日常生活でできる工夫など、幅広く情報をご用意しております。ぜひご覧ください。

パーキンソン病ステーション

検索

<https://www.sumitomo-pharma.co.jp/public/parkinson/>



## Information

### ●医療機関名

住友ファーマ株式会社