

先進医療Bの試験実施計画の変更について

【申請医療機関】

京都府立医科大学附属病院

【先進医療告示番号と名称】

告示番号：59

名称：自家骨髄単核球移植による下肢血管再生治療

【適応症】

バージャー病（従来の治療法に抵抗性を有するものであって、フォンタン分類 III 度又は IV 度のものに限る。）

効能・効果：難治性の虚血性疼痛や虚血性潰瘍の改善

使用目的：薬物治療でも改善がえられない虚血性疼痛及び潰瘍に対し、本治療を提供することで虚血症状の改善をえる。

【試験の概要】

本試験は多施設共同、シングルアーム試験である。薬物治療や運動療法、血行再建術などの現在保険収載されている標準治療に難治性の重症虚血肢を対象とし、組織皮膚灌流圧 (SPP 値) や組織酸素分圧 (T_{cp}O₂) の改善や潰瘍径の縮小等の重症虚血肢における組織治癒評価項目を測定し、閉塞性血栓性血管炎（バージャー病）による重症虚血肢に対する骨髄単核球細胞を用いた血管再生療法の有効性を評価する。研究期間は3年間で、有効性の評価は登録時と移植後3ヵ月の患肢 SPP 値を主要評価項目とする。その他、副次評価項目として潰瘍径の縮小や T_{cp}O₂ 値、安静時疼痛の軽減などを評価し、安全性評価項目として大切断回避率と生存率の評価を行う。難治性重症虚血肢に対する標準治療のみでの組織治癒評価項目 (SPP 値や T_{cp}O₂ 値の改善、潰瘍径の縮小等) のヒストリカルデータとしては、Tateishi-Yuyama E, et al. Lancet. 2002; 360:427-35. や Matoba S, et al. Am Heart J. 2008; 156:1010-8. 等の文献を参考とする。

【実施期間】

予定試験期間：2017年10月から2022年9月

症例登録期間：2017年10月から2021年9月

治療（観察）期間：移植後6ヵ月±21日

追跡期間：治療期間終了後一斉転帰調査（最終の症例登録より1年以内）まで

研究期間：合計5年間

【予定症例数】

25 例

【現在の登録状況】

2018 年 7 月 1 日現在、4 例登録され当医療技術を提供済。

【主な変更内容】

1. 先進医療実施届出書 37 頁 様式第 9 号

実施責任医師の要件「その他（上記以外の要件）」

（変更前）： バージャー病以外の疾患に対する自家骨髄単核球細胞を用いた血管再生療法の経験が術者として 5 例以上あること。

（変更後）： 上記の当該技術の症例経験数を満たしていれば、特記追加事項はなし。

【変更申請する理由】

変更前は、当該技術（バージャャー病に対する）の経験症例数を 5 症例に加えて、閉塞性動脈硬化症及び膠原病疾患等のバージャャー病以外の疾患に対する当該技術の経験症例数も 5 症例を求めていた。しかし、疾患は異なるが患者に提供する技術はすべての疾患において同様の技術であり、本試験はバージャャー病のみを対象としている。加えて、バージャャー病は閉塞性動脈硬化症や膠原病疾患に比し若年者に多く、重症虚血肢以外に心血管疾患などの併存疾患を有することは非常に少ないと報告されており、当該技術を提供する疾患の中でも安全性が高い疾患である。当該技術は、従来の骨髄穿刺による細胞採取と、細胞を肢へ筋肉内注射する細胞移植に分かれるが、骨髄穿刺や筋肉内注射などの医療技術は一般的な臨床現場で施行されているものである。以上の理由より、内科医または外科医としての臨床経験を十分に有し、当該技術を 5 例以上経験していれば、実施責任医師としての要件を満たすと考えられる。

本技術は症例集積が遅れているため、先日の第 72 回先進医療技術審査部会において試験期間の延長をお認めいただいたが、目標症例数の達成には、協力医療機関を追加することも重要である。そこで上記を踏まえて必要にして十分な経験症例数について再検討することとした。

以上の理由から、本試験の実施責任医師の要件の経験症例数を、医療機関の要件の症例数に合わせ、「バージャャー病において当該技術を 5 例以上経験していること」と変更させていただきたい。

以上