

先進医療会議からの指摘事項に対する回答

先進医療技術名：全身性強皮症における皮膚潰瘍に対する
自家骨髄単核球移植による血管再生療法

令和３年４月１５日

所属・氏名：横浜市立大学附属病院

血液・リウマチ・感染症内科 吉見 竜介

以下の点について検討し、必要に応じて関連書類についても修正してください。

1. 本研究で対象としている「保険収載された標準治療薬で過去 12 週以上治療しても効果が不十分であると判断した患者(※1)」のみでは、かなり広範な患者層が適応になるのではと考えられます。指摘事項にもありました、潰瘍の重症度や、範囲など、この治療法の適応範囲として適切な患者は、果たしてこの文案で示された患者層で本当に良いか、という疑問に答えられるような情報収集が必要と考えます。

また、既存治療の効果が不十分とはいえ、併用薬中止によって病態悪化の懸念がある中で、併用薬についての縛りが無い、というのは治療を進める上で、課題となる可能性があります。この点に関する(既存治療薬:血管拡張薬、ステロイド、免疫抑制薬など)情報収集が、将来の保険診療を視野に入れた場合に必要と考えます。

上記を踏まえた上で、当該技術の適応や併用薬などに関する情報を収集し、適宜先進医療会議への報告を行ってください。

※1 「保険収載された標準治療薬」とは、本試験において、塩酸サルボグレラート、プロスタグランジン誘導体制剤、エンドセリン受容体拮抗薬の３種類の薬剤をいずれも１剤以上使用することと定義する。ただし、これらの３種類の薬剤は併用する必要はなく、副作用等の懸念により医師が使用不可能と判断した種類の薬剤については使用したことと同等とみなす。１剤も使用できなかった場合、他の標準治療で過去 12 週以上治療しても効果が不十分であると判断した患者は登録可とする。

【回答】

ご指摘いただきました対応として先進医療会議へ年度毎の定期報告時までに本臨床研究で登録された被験者の背景情報（当該技術の適応や併用薬など）に関して、一覧を作成し報告をいたします。

また、強皮症の皮膚潰瘍に関する新たな治療法（文献や新たなエビデンス等）を積極的に情報収集し、把握した際には適宜報告いたします。

以上