

第185回先進医療技術審査部会	資料2
令和8年3月12日	

第184回先進医療技術審査部会	資料1
令和8年2月9日	

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】

横浜市立大学附属病院

【先進医療告示番号と名称】

大臣告示番号 32

自家骨髄単核球移植による血管再生治療

【適応症】

全身性強皮症（難治性皮膚潰瘍を伴うものに限る）

【試験の概要】

全身性強皮症の皮膚潰瘍の原因は毛細血管の障害に伴う末梢循環不全であり、血流の改善が治療の目標となる。

血管再生療法は、自己の骨髄液中から血管内皮に分化しうる血管内皮前駆細胞を含んだ単核球細胞分画を取り出して虚血肢の骨格筋内へ移植することにより、新たな毛細血管を作り出す治療法である。

本試験では、全身性強皮症に伴う難治性皮膚潰瘍に対して、既存治療に add-on する形で自家骨髄単核球移植による血管再生療法を行い、その安全性と有効性を多施設共同シングルアーム試験により検証する。

【医薬品・医療機器情報】

品目名	製造販売業者名及び連絡先	規格	医薬品医療機器法承認又は認証番号(16桁)	医薬品医療機器法承認又は認証上の適応(注1)	医薬品医療機器法上の適応外使用の該当(注2)
白血球セット (P1Y) F02-0114	フレゼニウスカービジャパン株式会社	9007231	225AFBZX00079000	本品は、血液浄化、輸血のために、遠心型血液成分分離装置を用いて血液成分を分離、採取又は濃縮するための血液回路である。	適応外
BMSC 骨髄バッグセット F02-0132	フレゼニウスカービジャパン株式会社	9007341	225AFBZX00079000	本品は、血液浄化、輸血のために、遠心型血液成分分離装置を用いて血液成分を分離、採取又は濃縮するための血液回路である。	適応外

ボーンマ ロウ コレ クション キット	フレゼニウ スカービジ ヤパン株式 会社	J6R21 07	20500BZY00 152000	本品は骨髄移植のための 骨髄液のろ過、収集 を行うために使用する 器具である。	適応外
スペクト ラオプテ ィア用血 液回路 IDL セッ ト	テルモ BCT 株式会社	10317	22200BZX0 0554000	本品は、専用の遠心型 血液成分分離装置とと もに使用する単回使用 の血液回路である専用 の装置と組み合わせて 血液成分（血小板、血 漿、赤血球、白血球、 末梢血幹細胞）を分 離・採取又は除去する ことを目的とする。血 液成分除去治療又は血 液成分採取に用いる。	適応内
スペクト ラオプテ ィア用血 液回路 BMP セッ ト	テルモ BCT 株式会社	11307	22200BZX0 0554000	本品は、専用の遠心型 血液成分分離装置とと もに使用する単回使用 の血液回路である専用 の装置と組み合わせて 血液成分（血小板、血 漿、赤血球、白血球、 末梢血幹細胞）を分 離・採取又は除去する ことを目的とする。血 液成分除去治療又は血 液成分採取に用いる。	適応内

【実施期間】

被験者登録期間：jRCT 公開日から 5 年間

(2021 年 7 月 19 日～2026 年 7 月 18 日)

研究実施期間：合計 8 年間 (2021 年 7 月 19 日～2029 年 7 月 18 日)

【予定症例数】

12 症例

【現在の登録状況】

2 症例（2026 年 1 月 8 日現在）

【主な変更内容】

1. 先進医療費用の研究費から患者負担への変更
2. 医療機器の変更（費用含む）
3. 医療材料、医薬品、人件費の変更
4. 協力機関の実施体制変更

【変更申請する理由】

1. AMED 支援により研究費による費用負担としていたが、AMED 支援の終了後新たな研究費を獲得できておらず、研究費による費用負担が困難な状況となったため、先進医療に係る費用負担を患者負担へ変更することとした。なお、本変更は費用負担の区分に関するものであり、研究の目的、評価項目、方法、実施体制等に変更はない。
2. 当院の血液成分分離装置の老朽化により新たな機器へ変更した。変更後の機器は、協力機関ですでに使用されているものと同一であり、プロトコールの変更はない。
3. 機種の変更に伴う医療材料の変更に併せて医療材料、薬剤の納入価や人件費も見直した。
4. 協力機関である日本医科大学付属病院の病院長他の変更があった。

【試験実施計画の変更承認状況】

本変更内容について、2026 年 1 月 23 日に、京都府立医科大学特定認定再生医療等委員会にて承認された。

先進医療審査の照会事項に対する回答

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

2026年2月12日

所属・氏名： 横浜市立大学医学部血液・免疫・感染症内科学 吉見 竜介

※照会に伴い変更が生じた場合は、関係書類も併せて修正して下さい。

1. AMED 支援が終了したと記載されていますが、支援の期間はいつからいつまでだったのでしょうか。また、2症例で費用が足りなくなってしまったということでしょうか。

【回答】

AMED 再生医療実用化研究事業より 2020～2022 年度の計 3 年間、「全身性強皮症に伴う皮膚潰瘍に対する自家骨髄単核球移植を用いた血管再生療法に関する研究開発」としてご支援をいただきました。先進医療がスタートしたのが 2021 年 7 月ですので、同助成は試験の立ち上げや実施体制の構築および1症例目の実施の費用になりました。2023 年以降新たな研究費は獲得できておらず、2024 年度に実施した症例の際には、当科の基礎研究費で対応いたしました。しかしながら、本財源での継続的な実施は困難な状況となっております。このため、研究の継続性および対象となる患者への医療提供を中断することなく実施するため、先進医療に係る費用負担を患者負担へ変更する申請を行ったものです。

2. 現在2症例しか症例組み入れがない状況ですが、今後症例組み入れはどのように行う予定でしょうか。費用がさらにかかることによる影響はないでしょうか。

【回答】

患者負担の増加が症例組み入れに与える影響はないとはいえ不透明ではありますが、今回の変更は研究の今後の継続のためには重要であると考えております。今後は症例のリクルートに関する対策を充実させることで登録症例数の増加を目指す予定でございます。患者登録をより促進するために、研究協力機関との合同ミーティングを開催し、学会（日本リウマチ学会、日本循環器学会など）や医師向け SNS によるコミュニケーションを通じて患者紹介の依頼を強化することや、地域連携会や研究会などの開催により本先進医療を医師向けにアピールする方針を研究グループ内で共有いたしました。また、研究協力機関としての参加のお問い合わせをいただいている医療機関もあり、現在試験参加が可能かどうかを検討しているところです。先進医療の制度上許容される範囲内で症例集積促進のための対応をより一層強化していく予定です。

3. 認定再生医療等委員会意見書を提出いただいておりますが、審査概要に「ただし、委員会の議論において、「外部資金獲得や組織の支援等で研究費負担を継続できるか、費用負担を変更することで生じるリクルートへの影響やバイアスは生じないか検討すること」という意見が複数の委員よりなされたことを伝える。」と記載がございます。この後にどのような検討をされたでしょうか。ご教示ください。

【回答】

認定再生医療等委員会における当該意見を受け、研究責任医師および研究分担者間で研究費負担の継続可能性、費用負担変更が症例リクルートに与える影響、ならびに被験者間の公平性について改めて検討を行いました。

まず、外部資金の獲得や組織的支援による研究費負担の継続について検討いたしましたが、現時点では新規の研究費を獲得できる見通しが立っていない状況であり、研究費負担を継続できる確実な方策を示すことは困難であるとの結論に至りました。

次に、研究費負担が継続できない場合の対応として、①研究を一時中断する選択肢と、②先進医療制度に基づき費用負担区分を変更した上で研究を継続する選択肢について比較検討を行いました。本研究では、これまでに2症例において良好な治療効果と安全性が得られていること、当該研究の対象となる患者が一定数存在することを研究グループ内で再確認しました。

また、被験者間の公平性については、費用負担が変更されることにより一定の不均衡が生じ得る点について十分に認識しておりますが、被験者への費用負担の変更理由を含めた十分な説明を行い、自由意思に基づく同意を得ることで不均衡を是正することが出来ると整理しております。加えて、症例リクルート方法の強化により選択バイアスが可能な限り生じないよう対応する方針としました。

以上の検討を踏まえ、研究責任医師および研究分担者間で協議の結果、本研究については中断ではなく費用負担区分変更の理由を丁寧に説明した上で研究を継続し、将来的な保険収載を目指して症例集積を進めていくことが妥当であるとの意見で合意に至りました。

以上