

第98回先進医療会議(令和3年4月9日)における先進医療Bの科学的評価結果

整理番号	技術名	適応症等	医薬品・医療機器等情報	申請医療機関 ¹	保険給付されない費用 ¹ ² (「先進医療に係る費用」)	保険給付される費用 ² (「保険外併用療養費に係る保険者負担」)	保険外併用療養費分に係る一部負担金 ²	総評	その他(事務的対応等)
150	全身性强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	全身性强皮症に伴う難治性皮膚潰瘍	・白血球セット(P1Y) F02-0114 (フレゼニウスカービージャパン) ・BMSCツインパックF02-0132 (フレゼニウスカービージャパン) ・ボンマロウコレクションキット (フレゼニウスカービージャパン)	横浜市立大学 附属病院	20万4千円	35万2千円	15万9千円	条件付き適	別紙資料

1 医療機関は患者に自己負担を求めることができる。

2 典型的な1症例に要する費用として申請医療機関が記載した額。(四捨五入したもの)

【備考】

先進医療A

- 1 未承認等の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の使用又は医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の適応外使用を伴わない医療技術(4に掲げるものを除く。)
- 2 以下のような医療技術であって、当該検査薬等の使用による人体への影響が極めて小さいもの
 - (1)未承認等の体外診断薬の使用又は体外診断薬の適応外使用を伴う医療技術
 - (2)未承認等の検査薬の使用又は検査薬の適応外使用を伴う医療技術

先進医療B

- 3 未承認等の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の使用又は医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の適応外使用を伴う医療技術(2に掲げるものを除く。)
- 4 未承認等の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の使用又は医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の適応外使用を伴わない医療技術であって、当該医療技術の安全性、有効性等に鑑み、その実施に係り、実施環境、技術の効果等について特に重点的な観察・評価を要するものと判断されるもの。

先進医療B評価用紙(第2号)

評価者 構成員：竹内 勤 先生

先進技術としての適格性

先進医療 の名称	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
社会的妥当性 (社会的倫理 的問題等)	A. 倫理的問題等はない。 B. 倫理的問題等がある。
現時点での 普及性	A. 罹患率、有病率から勘案して、かなり普及している。 B. 罹患率、有病率から勘案して、ある程度普及している。 C. 罹患率、有病率から勘案して、普及していない。
効率性	既に保険導入されている医療技術に比較して、 A. 大幅に効率的。 B. やや効率的。 C. 効率性は同程度又は劣る。
将来の保険収 載の必要性	A. 将来的に保険収載を行うことが妥当。なお、保険導入等の評価に際しては、 以下の事項について検討する必要がある。 〔 適応や併用薬などについて情報を収集する必要がある。 〕 B. 将来的に保険収載を行うべきでない。
総 評	総合判定： 適・ <input checked="" type="checkbox"/> 条件付き適 <input type="checkbox"/> ・否 コメント： 適応や併用薬などの情報をさらに収集していく必要があるが、有効な 治療薬の乏しい全身性強皮症の皮膚潰瘍に対して先進的治療として 的確な研究計画であると考える。

「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（整理番号B113）」の有効性・安全性にかかる評価について

先進医療技術審査部会

座長 山口 俊晴

横浜市立大学附属病院から申請のあった新規技術について、先進医療技術審査部会で安全性・有効性について検討を行い、その結果を以下の通りとりまとめたので報告いたします。

1. 先進医療の概要

先進医療の名称：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
適応症：全身性強皮症に伴う難治性皮膚潰瘍
内容： （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。既存治療として血管拡張作用のある薬剤や抗血小板薬の内服・点滴治療が実施されているが、血管障害の程度が強いあるいは範囲が広い場合には十分な血流改善効果が得られないことがあり、難治性となる。 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、肢に新たな毛細血管を作りだす治療法である。 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。 ・主要評価項目： 治療の有効度（登録前12週時点と登録時の皮膚潰瘍面積の平均値に比して、移植後12週時点における同面積で-50%以下の面積変化率が確認された場合、当該被験者を治療有効例とし、本移植治療の有効割合（%）を算出） ・副次評価項目： 1)皮膚潰瘍の個数、2)新規皮膚潰瘍の発生数、3)登録前からの皮膚潰瘍面積変化率、4)チアノーゼの有無、5)RCSによるレイノー現象の重症度、6)VASによる疼痛評価、7)HAQによる機能障害評価、8)患肢切断の有無及び切断までの期間、9)全生存期間

予定試験期間：jRCT 公開日から 6 年間（登録期間：jRCT 公開日から 3 年間）

予定症例数：12 例

（先進医療にかかる費用）

本技術にかかる総費用は 714,010 円である。そのうち先進医療にかかる費用は 203,810 円であり、患者負担は 362,363 円である。

申請医療機関	横浜市立大学附属病院
協力医療機関	なし

2．先進医療技術審査部会における審議概要

(1) 開催日時：令和 3 年 3 月 11 日（木） 16:00～
（第 115 回 先進医療技術審査部会）

(2) 議事概要

横浜市立大学附属病院から申請のあった新規医療技術について、申請書を基に、有効性・安全性等に関する評価が行われた。

その結果、当該技術を「適」とし、本会議において指摘された条件が適切に反映されたことが確認されれば、了承とし、先進医療会議に報告することとした。

（本会議での評価結果）

第 115 回先進医療技術審査部会資料 3 - 1 , 3 - 2 参照

（本会議での指摘事項及び回答）

第 115 回先進医療技術審査部会からの指摘事項回答参照

3．先進医療技術審査部会での検討結果

横浜市立大学附属病院からの新規医療技術に関して、先進医療技術審査部会は、主として有効性・安全性等にかかる観点から論点整理を進め、それらの結果を申請書に適切に反映させ、その内容については全構成員が確認を行った結果、当該新規技術の申請内容が先進医療として妥当であると判断した。

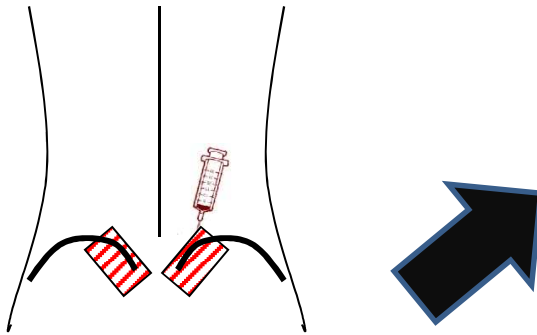
全身性強皮症における皮膚潰瘍に対する 自家骨髄単核球移植による血管再生療法の概略図

2. 骨髄単核球分離濃縮

1. 骨髄採取術

全身麻酔下で腸骨から
骨髄液を採取する

場所: 手術室



血球分離装置を用いて
採取した骨髄液から
単核球を分離濃縮する

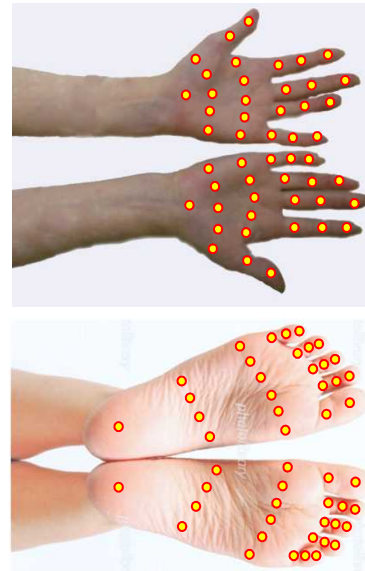
場所: 細胞培養
加工施設



3. 骨髄単核球移植

全身麻酔下で
骨髄単核球濃縮液を
四肢に筋肉注射する

場所: 手術室



保険収載までのロードマップ

臨床研究名：全身性強皮症における皮膚潰瘍に対する自己骨髄単核球移植による血管再生療法
 対象疾患：全身性強皮症に伴う難治性皮膚潰瘍

