

先進医療 B 総括報告書に関する評価表（告示 25）

評価委員 主担当：山本 _____
副担当：大門 技術委員：一 _____

| | |
|-----------|--|
| 先進医療の名称 | 生体内吸収性高分子担体を用いた塩基性線維芽細胞増殖因子による血管新生療法 |
| 申請医療機関の名称 | 京都大学医学部附属病院 |
| 医療技術の概要 | 閉塞性動脈硬化症またはバージャー病による重症下肢虚血患者 10 名に対して、塩基性線維芽細胞増殖因子 (bFGF) 徐放化ゼラチンハイドロゲル 200 μ g を腰椎麻酔下に虚血下肢に 40 箇所筋肉内投与を行い、4 週および 24 週後に安全性および下肢血流改善・救肢状況の評価を行う。 |
| 医療技術の試験結果 | 学会未発表、論文投稿中のため、詳細な試験結果についての記載は省略するが、本試験結果から、閉塞性動脈硬化症またはバージャー病による重症下肢虚血患者に対する生体内吸収性高分子担体と塩基性線維芽細胞増殖因子 (bFGF) を用いた血管新生療法は安全で実現可能であることが示された。 |

主担当：山本構成員 _____

| | |
|--------|---|
| 有効性 | <p>A. 従来の医療技術を用いるよりも、大幅に有効である。</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> B. 従来の医療技術を用いるよりも、やや有効である。</p> <p>C. 従来の医療技術を用いるのと、同程度である。</p> <p>D. 従来の医療技術を用いるよりも、劣る。</p> <p>E. その他</p> |
| コメント欄： | <p>主要評価項目において統計的に有意な改善がみられ、副次的評価項目もほぼ同様の傾向を示している。24 週後まで臨床的に意味のある改善効果が認められた症例も見られることから、今回の小規模な試験結果からは当該治療の有用性が期待できる可能性が示されている。</p> |

| | |
|-----|-------------------------|
| 安全性 | A. 問題なし。(ほとんど副作用、合併症なし) |
|-----|-------------------------|

| | |
|--|---|
| | <p>B. あまり問題なし。(軽い副作用、合併症あり)</p> <p>C. 問題あり。(重い副作用、合併症が発生することあり)</p> <p>D. その他</p> |
|--|---|

コメント欄：

試験中に重篤な有害事象は発生しているが、医薬品との因果関係を強く疑うものではない。既承認医薬品の剤型および投与経路変更であり、危険性については当初より限定的と思われたが、試験結果からそれ以上の危険性を示唆する所見は得られていない。

| | |
|--------|---|
| 技術的成熟度 | <p>A. 当該分野を専門とし、経験を積んだ医師又は医師の指導の下であれば実施できる。</p> <p>B. 当該分野を専門とし、数多くの経験を積んだ医師又は医師の指導の下であれば実施できる。</p> <p>C. 当該分野を専門とし、かなりの経験を積んだ医師を中心とした体制をとっていないと実施できない。</p> <p>D. その他</p> |
|--------|---|

コメント欄：

特段難易度の高い技術ではないと考える。

| | |
|-----------|---|
| 総合的なコメント欄 | <p>主要評価項目において統計的に有意な改善がみられ、副次的評価項目もほぼ同様の傾向を示している。24週後まで臨床的に意味のある改善効果が認められた症例も見られることから、今回の小規模な試験結果からは当該治療の有用性が期待できる可能性が示されている。既承認医薬品の剤型変更および投与経路変更であるが、承認取得のためには、検証的な試験を必要とする可能性はある。</p> |
|-----------|---|

| | |
|--|--|
| 薬事未承認の医薬品等を伴う医療技術の場合、薬事承認申請の効率化に資するかどうか等についての助 | <p>検証的な試験の実施が必要な可能性はあるが、本試験を承認申請の参考資料として使用することで、効率化に資する可能性はあると考える。</p> |
|--|--|

| | |
|----|--|
| 言欄 | |
|----|--|

副担当：大門構成員

| | |
|--|---|
| 有効性 | <p>A. 従来の医療技術を用いるよりも、大幅に有効である。</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> B. 従来の医療技術を用いるよりも、やや有効である。</p> <p>C. 従来の医療技術を用いるのと、同程度である。</p> <p>D. 従来の医療技術を用いるよりも、劣る。</p> <p>E. その他</p> |
| <p>コメント欄：</p> <p>試験治療により、主要評価項目である TcO₂、副次評価項目である 6 分間歩行距離、チアノーゼ、Rutherford 慢性虚血肢臨床分類による臨床症状及び疼痛スケールによる安静時疼痛において統計的に有意な改善が得られている。とくに、TcO₂ に注目すると、投与 4 週後、投与 24 週後ともに改善している。</p> <p>本試験は単アームの試験であり、従来の医療技術との直接比較により有効性が検証されているわけではないが、上記の改善は、臨床的に意味のある改善と少なくともほぼ同等もしくはそれ以上であり、試験治療は従来の医療技術を用いるよりも同程度又はやや有効であることが期待されると考えられます。</p> | |

| | |
|---|--|
| 安全性 | <p>A. 問題なし。(ほとんど副作用、合併症なし)</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> B. あまり問題なし。(軽い副作用、合併症あり)</p> <p>C. 問題あり。(重い副作用、合併症が発生することあり)</p> <p>D. その他</p> |
| <p>コメント欄：</p> <p>試験治療後に発生した有害事象及び副作用が観察されたが、重度の有害事象はなく中等度の有害事象もわずかであった。重篤な有害事象もわずかに発現したが、試験治療との因果関係は否定されている。それ故、安全性については上記の評価結果としました。</p> | |

| | |
|--------|---|
| 技術的成熟度 | <p>A. 当該分野を専門とし、経験を積んだ医師又は医師の指導の下であれば実施できる。</p> |
|--------|---|

| | |
|---|---|
| | <p>B. 当該分野を専門とし、数多くの経験を積んだ医師又は医師の指導の下であれば実施できる。</p> <p>C. 当該分野を専門とし、かなりの経験を積んだ医師を中心とした体制をとっていないと実施できない。</p> <p>D. その他</p> |
| <p>コメント欄：</p> <p>本被験薬をどの部位にどれぐらいの間隔をあけて、どれぐらい投与すればよいかについては、今後の検討が必要と考えられ、これらの問題については数多くの経験を積んでいる医師の経験に基づいて症例ごとに判断されるものと考えられる。</p> | |