

## 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】

大阪大学医学部附属病院

### 【先進医療告示番号と名称】

大臣告示番号49 ベペルミノゲンペルプラスミドによる血管新生療法

### 【適応症】

閉塞性動脈硬化症又はビュルガー病（血行再建術及び血管内治療が困難なものであって、フォンタン分類III度又はIV度のものに限る。）

### 【医薬品・医療機器情報】

AMG0001 は米国インビトロジェン社が製造しているプラスミド DNA ベクターである pVAX1 を基本骨格とし、ヒト HGF 遺伝子 (cDNA) を組み込んだプラスミド DNA である。AMG0001 は導入された細胞内にて HGF 遺伝子を発現し、HGF たん白が産生される。AMG0001 を用いた遺伝子治療では、産生した HGF たん白質が血管新生と血流増加をもたらし、虚血症状を改善することにより、慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症及びビュルガー病）の治療薬としての効果が期待される。

### 【実施期間】

2014 年 9 月 1 日（先進医療告示日）を研究開始日とし、それから 2 年以内に最終被験者の研究参加を終了する。

### 【予定症例数】

6 例

### 【現在の登録状況】

大阪大学医学部附属病院...1 例

### 【主な変更内容】

1. 臨床研究分担医師及び臨床研究協力者の変更

臨床研究分担医師 7名 → 16名

臨床研究協力者 1名 → 11名

## 2.対象疾患の選定基準の明確化

観察期間の足関節血圧の平均値が70 mmHg 又は ABI が0.6 以下の者。 → 投与対象肢の観察期間の足関節血圧の平均値が70 mmHg 又は ABI が0.6 以下の者（ただし、ビュルガー病に関してはこの限りではない）。

## 3.臨床研究期間の延長

1年 → 2年

## 4.症例報告書様式の「規定外検査」分冊を「前観察期間」と「後観察期間」に統合

## 5.標準業務手順書の他の標準業務手順書との整合性確保

### 【変更申請する理由】

#### 1.臨床研究分担医師及び臨床研究協力者の変更等

本臨床研究の対応強化及び人事異動のため、大阪大学医学部附属病院の臨床研究分担医師及び臨床研究協力者の追加・変更が行われたため。その他、誤記記載を整備した。

#### 2.対象疾患の選定基準の明確化

本臨床研究では、慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症又はビュルガー病）を対象としているが、選択基準の「観察期間の足関節血圧の平均値が70 mmHg 又は ABI は0.6 以下の者。」は、閉塞性動脈硬化症に特化した基準であり、ビュルガー病には適用されないことから、当該内容を明確化した。

#### 3.臨床研究期間の延長

目標症例数6症例に対して、現在の登録数は1例である。協力医療機関の遺伝子治療臨床研究に係る院内審査や当局への申請の遅れから、予定していた臨床研究期間内での目標症例数6症例の集積が困難な状況にある。2015年6月1日から、協力医療機関2施設での本臨床研究が開始され、2015年9月を目処に、協力医療機関3施設で本臨床研究が開始される見込みである。当該協力医療機関の臨床研究開始、及び本臨床研究期間を1年間延長することにより、目標症例数6症例の集積は可能である。したがって、臨床研究期間を1年間延長して2年とした。

#### 4.症例報告書様式の「規定外検査」分冊を「前観察期間」と「後観察期間」に統合

症例報告書様式として「規定外検査」が分冊として独立していたが、データ収集上の合理性を考慮し、分離独立していた当該記載様式を分冊1（前観察期間）と分冊2（試験治療期間・後観察期間）の記載様式に統合した。

#### 5.標準業務手順書の他の標準業務手順書との整合性確保

本臨床研究の標準業務手順書全体における整合性確保のため、標準業務手順書の体裁を統一した。

#### 【試験実施計画の変更承認状況】

試験実施計画書の改定は、2015年3月8日に開催された大阪大学医学部附属病院の遺伝子治療臨床研究審査委員会によって、2015年4月22日に承認済みである。