

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】

京都府立医科大学附属病院

【先進医療告示番号と名称】

告示番号：59

名称：自家骨髄単核球移植による下肢血管再生治療

【適応症】

バージャー病（従来の治療法に抵抗性を有するものであって、フォンタン分類 III 度又は IV 度のものに限る。）

効能・効果：難治性の虚血性疼痛や虚血性潰瘍の改善

使用目的：薬物治療でも改善がえられない虚血性疼痛及び潰瘍に対し、本治療を提供することで虚血症状の改善をえる。

【試験の概要】

本試験は多施設共同、シングルアーム試験である。薬物治療や運動療法、血行再建術などの現在保険収載されている標準治療に難治性の重症虚血肢を対象とし、組織皮膚灌流圧 (SPP 値) や組織酸素分圧 ($T_{cp}O_2$) の改善や潰瘍径の縮小等の重症虚血肢における組織治癒評価項目を測定し、閉塞性血栓血管炎（バージャー病）による重症虚血肢に対する骨髄単核球細胞を用いた血管再生療法の有効性を評価する。研究期間は3年間で、有効性の評価は登録時と移植後3ヵ月の患肢 SPP 値を主要評価項目とする。その他、副次評価項目として潰瘍径の縮小や $T_{cp}O_2$ 値、安静時疼痛の軽減などを評価し、安全性評価項目として大切断回避率と生存率の評価を行う。難治性重症虚血肢に対する標準治療のみでの組織治癒評価項目 (SPP 値や $T_{cp}O_2$ 値の改善、潰瘍径の縮小等) のヒストリカルデータとしては、Tateishi-Yuyama E, et al. Lancet. 2002; 360:427-35. や Matoba S, et al. Am Heart J. 2008; 156:1010-8. 等の文献を参考とする。

【実施期間】

予定試験期間：先進医療 B 告示後 3 年間

症例登録期間：先進医療 B 告示後 2 年間

治療（観察）期間：移植後 6 ヶ月 ± 21 日

追跡期間：治療期間終了後一斉転帰調査（最終の症例登録より 1 年以内）まで

研究期間：合計 3 年間

【予定症例数】

25 例

【現在の登録状況】

2018年4月30日現在、4例登録され当医療技術を提供済。

【主な変更内容】

1. 症例登録期間及び研究期間の延長

予定試験期間：先進医療B告示後3年間→2017年10月から2022年9月

症例登録期間：先進医療B告示後2年間→2017年10月から2021年9月

2. 協力医療機関（予定）の追加

現在予定している5施設に加え、日本医科大学付属病院の追加を行う。

3. 横浜市立大学附属病院 循環器内科の実施責任者の変更

横浜市立大学附属病院 循環器内科 実施責任者：部長 石川 利之

→ 横浜市立大学附属病院 循環器内科 実施責任者：准教授 石上 友章

【変更申請する理由】

1. 2018年4月1日現在、目標症例数25症例に対して、本先進医療における登録数は4症例である。稀な難病疾患であるバージャー病に加え、選択基準であるSPP値30mmHg未満に合致する候補患者不足があげられ、症例登録の推進のため、関連・協力施設での患者紹介のお願いや学会発表等でのアナウンスを継続的に行っている。

2018年4月現在、先進医療B告示後6ヵ月が経過しているが登録症例は4例は全て京都府立医科大学附属病院で実施している。本年度までに予定協力医療機関の承認をすべて終了させ、本試験の患者登録を加速させていきたいと考えている。今後は約1~2ヵ月に1例の登録が予想され、2021年9月には必ず目標症例数に到達すると見込まれるので、症例登録期間を24か月間延長することとした。

2. 先進医療Aの際に当医療技術を多数経験されている日本医科大学付属病院より協力が得られたため。

3. 横浜市立大学附属病院 循環器内科の実施体制に変更があったため。（実施責任者である横浜市立大学附属病院 循環器内科 石上友章は、「様式第9号：実施責任医師の要件」を満たしており、当医療技術を多数経験されている。）

【試験実施計画の変更承認状況】

2018年5月に京都府立医科大学特定認定再生医療等委員会に申請し承認予定。

以上