

高度医療 評価表 (番号 035)

評価委員 主担当：竹内
副担当：金子 副担当：佐藤 技術委員：越智、松山

高度医療の名称	軟骨無形成症等骨系統疾患に伴う低身長症例および下肢長不等症例に対する培養骨髄細胞移植の併用による骨延長術
申請医療機関の名称	名古屋大学医学部附属病院
医療技術の概要	骨延長術時に骨髄液を採取し、間葉系幹細胞を含む細胞を自己血清下で培養し骨芽細胞へ分化誘導する。 細胞の安全性を確認後、自己血より精製した多血小板血漿とともに骨延長部位に移植し、早期に骨形成を促す治療法である。

【実施体制の評価】 評価者：金子

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） PRPをスcaffordと細胞増殖因子として用いる点が斬新であり、先行する臨床研究において良好な成績が得られている。治療期間の短縮、合併症の軽減が期待でき、臨床に直結する有望な研究である。別添の質疑応答を経て、問題点が解消されたので、適とする。	
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）	

【実施体制の評価】 評価者：越智

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ <input type="checkbox"/> 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ <input type="checkbox"/> 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ <input type="checkbox"/> 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） 2002 年より培養骨髄細胞と PRP にトロンビンとカルシウムを加え移植する方法で骨延長術（40 肢 70 骨以上）の治療にかかる期間の短縮を行い、その有効性と安全性の実績を有している。		
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）		

【実施体制の評価】 評価者：松山

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ <input type="checkbox"/> 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ <input type="checkbox"/> 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ <input type="checkbox"/> 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） 我が国における骨再生の臨床研究を牽引する素晴らしいプロトコールだと思います。実施にあたり、問題となりそうな点については、質疑応答を経て所要の修正がなされた結果、疑義が解消されたので「適」とします。		
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）		

【倫理的観点からの評価】 評価者：佐藤

4. 同意に係る手続き、同意文書	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ <input type="checkbox"/> 不適
5. 補償内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ <input type="checkbox"/> 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） 当初、説明文書の項目名、小児用説明文書の内容、同意書における小児のいわゆるアセント欄など、いくつか気になる点があったが、事務局を通じてやりとりをした結果、すべて改善された。 患者相談等の対応についても、適当であると考え。 （患者相談等の対応が整備されているか、についても記載下さい。）		
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）		

【プロトコールの評価】 評価者：竹内

6. 期待される適応症、効能及び効果	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
7. 予測される安全性情報	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
8. 被験者の適格基準及び選定方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
9. 治療計画の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
10. 有効性及び安全性の評価方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
11. モニタリング体制及び実施方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
12. 被験者等に対して重大な事態が生じた場合の対処方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
13. 試験に係る記録の取扱い及び管理・保存方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
14. 患者負担の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
15. 起こりうる利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
16. 個人情報保護の方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
コメント欄：本臨床試験では、無作為化比較試験実施は適切ではなく、ヒストリカルコントロールとの比較試験は適切であると判断致します。症例数設定根拠では、35例68骨データから算出されており、治療細胞の均一化等を考慮し、独立データモニタリング委員会が設置され、本試験のデザイン（症例数、被験者の背景）、有効性、安全性が検討され、本試験継続が審議されることは重要であると判断いたします。		
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）		

【総評】（主担当の先生が御記載ください。）

総合評価	<input checked="" type="checkbox"/> 適	条件付き適	継続審議	不適
予定症例数		予定試験期間		
実施条件： 本臨床研究に参加される被験者の背景因子がばらつく可能性があるため、5症例毎に高度医療事務局に報告して頂くこととする。必要に応じて、高度医療評価会議に報告し、同会議において評価を行う。				
コメント欄（不適とした場合は、その理由を必ず記載ください。）				