

高度医療 評価表 (番号 046)

評価委員 主担当：柴田
副担当：村上 副担当：田島 技術委員：高橋

高度医療の名称	自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植術
申請医療機関の名称	大阪大学医学部附属病院
医療技術の概要	<p>本方法は、患者本人の口腔粘膜組織を採取し単離した上皮細胞を、温度応答性培養皿上で約2 週間培養し、培養上皮細胞シートを作製する。角膜表面から結膜瘢痕組織を外科的に除去した後、この細胞シートを露出させた角膜実質に縫合する。</p> <p>これにより、角膜表面は上皮組織により完全に再建され、角膜の透明性が回復し、視力回復が長期的に得られることが期待できる。</p>

【実施体制の評価】 評価者：村上

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。）	
対象となる症例の数は多いものではないが、医療上の必要性が高い日本発の医療技術である。既にフランスにおいて臨床開発が進行していることから、高度医療で実施することで開発の Go/No go 判断を速やかに行い、治験に繋げていくことが肝要と考える。	
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：高橋

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。）	
実施体制等については問題なく、「適」と判断する。	
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。）	

【倫理的観点からの評価】 評価者：田島 _____

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
<p>コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）</p> <p>説明文書については、質疑応答を経て所要の修正がなされた結果、問題点が解消されたので、適とする。</p> <p>（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。）</p> <p>患者相談の対応は整備されている。</p>	
<p>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。）</p>	

【プロトコールの評価】 評価者：柴田 _____

6. 期待される適応症、効能及び効果	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
7. 予測される安全性情報	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
8. 被験者の適格基準及び選定方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
9. 治療計画の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
10. 有効性及び安全性の評価方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
11. モニタリング体制及び実施方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 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 ・ <input type="checkbox"/> 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 ・ <input type="checkbox"/> 不適
14. 患者負担の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 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 ・ <input type="checkbox"/> 不適
16. 個人情報保護の方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
<p>コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）</p> <p>本臨床試験を高度医療評価制度下で実施するに足るデータがあると思わせるか、逆に、現時点で治験ではなく高度医療評価制度下で本臨床試験を実施することにより、治験を実施するか否かの意思決定を（登録終了までに3年を要した場合、最終登録例の主要評価項目の評価終了まで4年程）漫然と先送りすることにならないか、の両面からの検討が必要と考える。プロトコールの評価に関連して後者について申請者の見解を照会したところ、回答より、本臨床試験実施で有効性に関する情報が追加されること、術後2年間までの有効性、安全性の情報が得られること、将来実施される治験で用いるべきエンドポイントの妥当性の検討等に寄与する情報を得られること等が考えられ、漫然と意思決定が先送りされるものではないと解釈した。</p> <p>本臨床試験の主要評価項目は「1年後の結膜化がなく、かつ上皮欠損のない面積」であり、術後1年時点でこの面積が10%以上であった場合に有効とし、有効となる症例の割合が従来法では2~3割程度であるのに対し本法では8~9割となることが見込まれている。この定義による「有効」の臨床的意義については議論の余地があると考えられるが、より厳密な治験の実施の Go/No go 判断を下すための探索的な臨床試験での有効性評価方</p>	

第 32 回高度医療評価会議	資料1-2
平成 24 年6月 27 日	

法としては問題ないと判断した。なお、有効性を評価する時期が術後 1 年時点で良いのかについては別途検討が必要であるが、この点については、術後 2 年までの追跡を行うよう臨床試験実施計画を変更する旨の回答がなされており、本臨床試験の結果にもとづきその妥当性を検討し得ると考える。

その他、有害事象発現時の対応に関する規定、本臨床試験の有効性を評価・解析する際の方法等について、指摘をしたところ、臨床試験実施計画書を改訂する旨の回答を得た。

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	10 例	予定試験期間	3 年
実施条件：（修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。）			
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。）			