

先進医療 B 実施計画等評価表（番号 B129）評価委員 主担当： 山口副担当： 田島 副担当： 飛田 技術専門委員： —

先進医療の名称	切除不能な肝門部領域胆管癌に対する生体肝移植
申請医療機関	熊本大学病院
医療技術の概要	<p>肝門部領域胆管癌の多くは、診断時に切除困難・不能であることが多く、切除不能症例の生命予後は極めて不良で、5年生存率は数%~10%前後に留まる。近年、これらの患者に対し集学的治療の一環として肝移植を行うことで、飛躍的に治療成績が向上したことが欧米を中心に示されている。本研究においては、現在、本邦に於いては肝細胞癌と肝芽腫のみに適応とされている悪性腫瘍に対する生体肝移植を、切除不能な肝門部領域胆管癌症例に行い、周術期の安全性並びにその後の臨床経過を3年間にわたり追跡し、再発率、生存率を評価する。</p> <p>○主要評価項目： 切除不能（切除可能境界含む）な肝門部領域胆管癌の生体肝移植後の3年全生存率。</p> <p>○副次評価項目： ・安全性の指標として 肝移植周術期における有害事象 ・移植群と非移植群との比較を含め以下の指標</p> <ol style="list-style-type: none">① 切除不能な肝門部領域胆管癌に対する生体肝移植術の短期手術成績② 移植群の腫瘍再発率、再発形式、再発後治療③ 移植群の腫瘍再発以外の有害事象の有無と治療内容④ 移植群の3年無再発生存率、3年グラフト生存率⑤ 移植群および非移植群における術前治療の効果⑥ 移植群および非移植群における術前治療の安全性⑦ 非移植群の割合、患者背景、治療内容および効果、3年生存率 <p>○予定試験期間： 先進医療告示日から9年間 （登録期間：5年、追跡期間3年、解析期間1年）</p> <p>○目標症例数： 20例</p>

【実施体制の評価】 評価者： 山口

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。）		
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	・ 不適
5. 補償内容	<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。） 説明文書及び同意文書に疑義があり、照会した結果、総ての点について所用の修正がなされたので適としました。 補償については臨床研究保険に加入して所要の手当がなされています。		
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。）		

【試験実施計画書等の評価】 評価者： 飛田

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：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） 切除不能な肝門部領域胆管癌に対する生体肝移植の保険収載を目的とし、主要評価項目である移植後3年生存率を既存報告から設定した閾値10%と比較する単群試験を予定登録症例20例（移植実施例12例）で実施し、本試験の登録症例のうち移		

植に至らない非移植例についてもデータを収集する計画です。試験の無効中止基準として、移植後 60 日以内の死亡例が 3 例超えないことが設定されています。

本試験では日本肝胆膵外科学会の定める高度技能専門医修練施設で生体肝移植を実施する計画であることから、施設間及び術者間の違いが評価に与える影響についてはほとんどないと考察されています。

予定登録症例数 20 例については、最大 8 例の非移植例を見込み、8 例を超えた場合には研究の継続の可否を判断する計画であること、生体肝移植群が少数にとどまった場合でも移植患者が 7 例以上であれば検出力及び実施可能性の観点から許容することが規定されています。

実施計画書として適切に計画されていますので、いずれも適と評価いたしました。

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。）

確認事項

【1～16の総評】

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	20 例	予定試験期間	先進医療告示日から 9 年 （登録期間：5 年、追跡期間 3 年、解析期間 1 年）	
実施条件：				
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。） （修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。） 高度に進行した肝門部領域胆管癌に新しい治療選択肢を示そうとする、新しい試みである。高度の技術と万全の体制が必要な移植医療であり、ドナーおよびレシピエントの安全性を確認しつつ慎重に進めて頂きたい。				