

## 先進医療の内容 (概要)

|   |
|---|
| 先進医療の名称：特発性大腿骨頭壊死症に対する自家濃縮骨髄液移植   |
| 適応症：特発性大腿骨頭壊死症（非圧潰病期）   |
| <p>内容：</p> <p>(先進性)</p> <p>特発性大腿骨頭壊死症は、非圧潰状態の大腿骨頭が圧潰へと病期進行すると疼痛と関節症に伴う機能障害が不可逆性に生じ、日常生活動作が制限される。よって、大腿骨頭の圧潰抑制が治療において重要となるが、大腿骨頭の圧潰を抑制する治療方法は存在しない。本先進医療では、自家濃縮骨髄液を壊死した大腿骨頭に移植することで、移植細胞の血管・骨新生効果による壊死領域縮小(骨再生)と大腿骨頭圧潰抑制効果を持つことに先進性を有し、大腿骨頭圧潰抑制により関節症進行抑制が可能で、人工股関節全置換術などの代替治療を回避することが可能となる。</p> <p>(概要)</p> <p>本先進医療は、患者自身の腸骨骨髄液を用いた低侵襲な骨再生医療である。手術室において患者自身の腸骨から数ミリの皮膚切開により骨髄液を採取し、細胞培養加工施設において専用キットを用いて遠心分離により幹細胞を含む必要な細胞層のみに濃縮する。濃縮された骨髄液は直ちに手術室に搬送され、数ミリの皮膚切開により大腿骨頭の壊死範囲に専用針を挿入し濃縮骨髄液の移植を行う。移植された濃縮骨髄液には血管・骨新生を持つ細胞群が含まれていることより移植部位で血管・骨新生が生じ、壊死領域の縮小(骨再生)が生じる。海外における過去の報告においては、本医療技術は 70%~78%の圧潰抑制効果・82~88%の人工関節回避率が示され、本邦では 2019 年 11 月に日本整形外科学会・厚生労働省指定難病特発性大腿骨頭壊死症研究班により作成されたガイドラインにおいて、本医療技術療が[推奨度 2/エビデンスの強さ C]と他の標準的治療と同等の位置付けがなされた。</p> <p>(効果)</p> <p>非圧潰・特発性大腿骨頭壊死症の圧潰への病期進行を抑制する。</p> <p>(先進医療にかかる費用)</p> <p>771,970 円 (全額患者負担無し)</p> |

先進医療の実施計画

1. 先進医療技術の名称

特発性大腿骨頭壊死症に対する自家濃縮骨髄液移植

2-1. 使用する医薬品、医療機器又は再生医療等製品について

①使用する医療機器（未承認又は適応外のものから記載すること。）

| 医療機器名         | 製造販売業者名及び連絡先    | 型式          | 医薬品医療機器法承認又は認証番号（16桁） | 医薬品医療機器法承認又は認証上の適応（注1）                               | 医薬品医療機器法上の適応外使用の該当（注2）           |
|---------------|-----------------|-------------|-----------------------|--|----------------------------------|
| GPS III 遠心分離機 | ジンマー・バイオメット合同会社 | 755VES-100V | 22700BZX0042000       | 本品は、遠心力を利用して患者から採取した血液より高白血球多血小板血漿（L-PRP）を分離する装置である。 | 適応外（但し、BioCUEを用いて骨髄液を遠心する場合は適応内） |

②使用する医療材料（ディスプレイザブル）及び医薬品

（未承認又は適応外のものから記載すること。）

| 品目名                          | 製造販売業者名及び連絡先    | 規格      | 医薬品医療機器法承認又は認証番号（16桁） | 医薬品医療機器法承認又は認証上の適応（注1）  | 医薬品医療機器法上の適応外使用の該当（注2）              |
|------------------------------|-----------------|---------|-----------------------|---|-------------------------------------|
| 骨髄液濃縮チューブスタンダード              | ジンマー・バイオメット合同会社 | 800-622 | 22900BZX00365000      | 遠心力を利用して患者から採取した骨髄液より濃縮骨髄液（cBMA：Concentrated Bone Marrow Aspirate）を分離する装置である。 | 適応内                                 |
| PerFuse 注入用ディスプレイザブルセット（ロング） |                 | 800-541 |                       |   | 注入用デバイスは整形外科手術部位へ濃縮骨髄液を注入するために使用する。 |

③使用する再生医療等製品（未承認又は適応外のものから記載すること。）

| 品目名 | 製造販売業者名及び連絡先 | 規格 | 医薬品医療機器法承認又は認証番号（16桁） | 医薬品医療機器法承認又は認証上の適応（注1） | 医薬品医療機器法上の適応外使用の該当（注2） |
|-----|--------------|----|-----------------------|------------------------|------------------------|
|     |              |    |                       |                        |                        |
|     |              |    |                       |                        |                        |
|     |              |    |                       |                        |                        |
|     |              |    |                       |                        |                        |
|     |              |    |                       |                        |                        |

④医療機器、医療材料、医薬品又は再生医療等製品が医薬品医療機器法上の適応外使用に該当する場合の医薬品医療機器法承認一部変更申請状況

| 医療機器名又は品目名 | 医薬品医療機器法承認一部変更申請状況 |
|------------|--------------------|
|            |                    |
|            |                    |
|            |                    |

⑤医療機器、医療材料、医薬品又は再生医療等製品が医薬品医療機器法上の未承認又は適応外使用に該当する場合の使用手法等

（血液成分分離キット 58331003 として高度管理医療機器の承認を得ている BioCUE システムを用いて、既承認内容での遠心力を利用して患者から採取した骨髓液より濃縮骨髓液を作製し注入する。）

⑥未承認又は適応外の場合は、□にレと記載する。

|   |   |
|---|---|
| □ | 当該医薬品・医療機器・再生医療等製品について、薬事承認の申請時及び取得時において、申請企業から情報提供がなされることとなっている。 |
|---|---|

注1) 医薬品医療機器法承認又は認証上の使用目的、効能及び効果を記入すること。

注2) 医薬品医療機器法において適応外使用に該当する場合は「適応外」、医薬品医療機器法で承認された適応の範囲内の使用の場合は「適応内」と記載すること。

2-2. 海外での承認に関する情報

米国での薬事承認の状況

骨髓液濃縮チューブは、GPSIII 遠心分離機を用いて血液や血液と骨髓の混合物から血漿と血小板濃縮物を調整する医療機器として、2010年にFDAで承認されている。

PerFuse 注入用デバイスディスポーザブルセットは、骨移植片材料を整形外科手術部位に注入する、もしくは骨移植片材料と血液、骨髓等との混合を容易にする医療機器として、2014年にFDA

で承認されている。

骨髓液濃縮チューブ：510(k) Number BK100027 (2010年5月26日認可)

Indication For Use: The BioCue Platelet Concentration System is designed to be used in the clinical laboratory or intraoperatively at the point of care for the safe and rapid preparation of platelet poor plasma and platelet concentrate (platelet-rich plasma or PRP) from a small sample of blood and bone marrow mixture. The plasma and concentrated platelets produced can be used for diagnostic tests. Additionally, the platelet rich plasma (PRP) can be mixed with autograft and/or allograft bone prior to application to an orthopedic site.

使用目的、効能又は効果：

BioCue 血小板濃縮システムは、臨床検査室または手術中に、少量の血液や血液と骨髓の混合物から血漿と血小板濃縮物(多血小板血漿またはPRP)を安全かつ迅速に調製するために使用するよう設計されています。生成された血漿および濃縮血小板は、診断テストに使用できます。さらに、多血小板血漿 (PRP) は、整形外科部位に投与する前に、自家移植および/または同種移植片の骨と混合することができます。

PerFuse 注入用デバイス：510(k) Number K141762 (2014年8月27日認可)

Indication For Use: The PerFuse Percutaneous Decompression System is intended to be used for the delivery of allograft, autograft, or synthetic bone graft material to an orthopedic surgical site. In addition, it is designed to facilitate mixing and pre-mixing of bone graft material with I.V. fluids, blood, plasma concentrate, platelet-rich plasma, bone marrow or other specified blood components deemed necessary by the clinical use requirements.

使用目的、効能又は効果：

PerFuse Percutaneous Decompression System は、自家移植、同種移植、または合成骨移植片材料を整形外科手術部位に注入するために使用することを目的としています。さらに、骨移植片材料と I.V. 体液、血液、血漿濃縮物、多血小板血漿、骨髓、または臨床使用要件によって必要と見なされるその他の特定の血液成分との混合および予備混合を容易にするよう設計されています。

欧州での薬事承認の状況

骨髓液濃縮チューブは、GPSIII 遠心分離機を用いて骨髓液から濃縮骨髓液 (cBMA) を調整する医療機器として、2017年に自己認証を行っている。

PerFuse 注入用デバイスディスプレイセットは、米国と同じ使用目的で2014年に自己認証を行っている。

骨髓液濃縮チューブ：自己認証 (2007年8月28日)

Indication For Use: The BioCUE and BioCUE Mini Concentration Systems including ACD-A are designed to be used for the safe and rapid preparation of autologous concentrated bone marrow aspirate (cBMA) from a small sample of bone marrow aspirate at the patient's

point of care. The cBMA is to be applied to bone damage including bone defects, surgically created bone defects, fracture, and non-union with or without mixing with graft material

使用目的、効能又は効果：

ACD-A を含む BioCUE および BioCUE Mini Concentration Systems は、患者のポイントオブケアで少量の骨髓液から自己濃縮骨髓穿刺液（cBMA）を安全かつ迅速に調製するために使用するよう設計されています。cBMA は、骨欠損、外科的に作成された骨欠損、骨折、および移植片材料との混合の有無にかかわらず偽関節を含む骨損傷に適用されます。

PerFuse 注入用デバイス：自己認証（2014年4月18日）

Indication For Use: 米国と同じ