

先進医療審査の事前照会事項に対する回答1

先進医療技術名：腹膜偽粘液腫に対する完全減量切除術における術中のマイトマイシンC腹腔内投与及び術後のフルオロウラシル腹腔内投与の併用療法

2023年8月31日

所属・氏名：

国立研究開発法人国立国際医療研究センター

合田良政

照会に伴い変更が生じた場合は、関係書類も併せて修正して下さい。

1. 本試験の結果を踏まえて、薬事承認申請等を含む今後の開発戦略に関して、現時点での規制当局や企業等との検討状況についてご説明ください。

【回答】

本試験の進捗状況については、マイトマイシンC(MMC)及びフルオロウラシル(5-FU)の製造販売業者である協和発酵キリン株式会社と情報共有を行いつつ、今後の薬事承認申請等に向けて、関連学会(日本腹膜播種研究会・日本大腸肛門病学会・日本消化器外科学会)と協議予定です。本先進医療の審査後、腹膜偽粘液腫に対する完全減量切除術における術中のマイトマイシンC腹腔内投与及び術後のフルオロウラシル腹腔内投与の保険収載にむけて、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議に対し、要望書を提出する予定です。

2. 様式第1号:先進医療に係る定期・総括報告書について

p84、85において完全減量切除術(N=62)となっておりますが、こちらは選択除外基準逸脱例2例を含んだ数字であるとの認識で間違いありませんか。

その場合、62例の内訳及び解析方法がわかるよう、以下の点を報告書に追記することをご検討ください。

・選択除外基準逸脱例2例についての詳細な説明(この2例は完全減量切除術が施行されているという理解ですが、その点がわかるよう記載ください。)

・安全性の解析にあたって、選択除外基準逸脱例も含んで解析をしていること及びその理由

【回答】

ご指摘ありがとうございます。完全減量切除に対する安全性の解析対象は、ご認識いただいております通り、選択除外基準逸脱例を含めて完全減量切除を施行した症例(N=62)となります。選択除外基準に抵触した症例2名も本切除術が施行されており、適切に安全性評価をすることを目的として、本症例も

解析に含めております。ご指摘の点については、表 12.1-1 の注釈に「選択除外基準抵触による PPS 除外例含む」と記載してありましたが、記載が不十分でしたので、文中に以下の通り追記いたします。

「FAS 解析対象例の CRS による術後合併症及び PIC による薬物有害反応の集計結果を表 12.1-1 に、CRS による術後合併症及び PIC による最悪グレードを用いた薬物有害反応の集計の結果を表 12.1-2 に示す。なお、本解析の対象は、FAS 症例のうち、安全性評価を目的として減量切除術を施行したすべての症例とする。具体的には、完全減量切除術 62 名(選択除外基準抵触した 2 名を含む)、姑息的減量切除術 11 名を解析対象とした。」と下線部を追記いたしました。