

先進医療Bの試験実施計画の変更について

【申請医療機関】

横浜市立大学附属病院

【先進医療告示番号と名称】

大臣告示番号 B32

自家骨髄単核球移植による血管再生治療

【適応症】

全身性強皮症（難治性皮膚潰瘍を伴うものに限る）

【試験の概要】

全身性強皮症の皮膚潰瘍の原因は毛細血管の障害に伴う末梢循環不全であり、血流の改善が治療の目標となる。

血管再生療法は、自己の骨髄液中から血管内皮に分化しうる血管内皮前駆細胞を含んだ単核球細胞分画を取り出して虚血肢の骨格筋内へ移植することにより、新たな毛細血管を作り出す治療法である。

本試験では、全身性強皮症に伴う難治性皮膚潰瘍に対して、既存治療に add-on する形で自家骨髄単核球移植による血管再生療法を行い、その安全性と有効性を多施設共同シングルアーム試験により検証する。

【実施期間】

被験者登録期間：jRCT 公開日から3年間

(2021年7月19日～2024年7月18日)

追跡期間：観察期間終了時から一斉転帰調査（※）日まで

（※）一斉転帰調査：最終の症例登録より2年後

解析期間：一斉転帰調査日から1年間

研究実施期間：合計6年間（2021年7月19日～2027年7月18日）

【予定症例数】

12症例

【現在の登録状況】

1症例（2024年5月31日現在）

【主な変更内容】

登録期間及び研究期間の延長

<変更前>

被験者登録期間：jRCT 公開日から3年間

(2021年7月19日～2024年7月18日)

研究実施期間：合計6年間(2021年7月19日～2027年7月18日)

<変更後>

被験者登録期間：jRCT 公開日から5年間

(2021年7月19日～2026年7月18日)

研究実施期間：合計8年間(2021年7月19日～2029年7月18日)

【変更申請する理由】

2024年5月31日時点で1例の治療が施行されているが、症例登録期間内に12例に到達しない可能性が高い。その原因として、研究開始時期と新型コロナウイルスの流行期間と重なり、臨床研究に関する医療機関の様々な制約により、研究において患者の登録が滞ったことが考えられる。

また、院内クラスターの発生への対応や感染防止対策、試験運用に必要な各種の詳細な手順書の作成に時間を要した点や、共同研究機関の先進医療の開始準備に時間を要した点も一因として挙げられる。

現在、上記の臨床研究の制約状況や手続き上の課題は解決されており、患者登録を促進するために近隣の医療機関へ患者紹介の依頼を進めていきながら、患者の認知度を上げる対策(市民公開講座等)も実施することにより、残り11例を今後参加5施設で1例/施設/年のペースで治療を施行することを想定している。その場合、現在設定している研究期間に加えて、さらに2年間の研究期間の延長が必要となる。

【試験実施計画の変更承認状況】

本変更内容について、2024年5月20日に、京都府立医科大学特定認定再生医療等委員会にて承認された。