

第 77 回 九州大学病院特定認定再生医療等委員会 議事概要

日時：令和 3 年 8 月 20 日（金） 15：00～15：30

出席者：谷委員長、鶴木委員、福應委員、野波委員、内海委員、小島委員、大脇委員、笠井委員、松田委員、河原委員、江口委員、中松委員

【審議】申請区分：変更

課題：「重症全身性硬化症に対する自己造血幹細胞移植の有効性に関する検討 第Ⅱ相臨床試験」

再生医療等区分：第三種

再生医療提供機関：九州大学病院

研究代表者：血液・腫瘍・心血管内科、免疫・膠原病・感染症内科  
赤司 浩一

---

【審査結果】

審議の結果、承認とする。

---

※変更申請について、資料に基づいて柏戸医師から説明が行われた。

谷委員長：それでは、課題名「重症全身性硬化症に対する自己造血幹細胞移植の有効性に関する検討 第Ⅱ相臨床試験」の変更申請につきましてのご説明をよろしくお願いいたします。

説明者：それでは説明させていただきます。今回の主な変更点としましては、試験登録期間の延長と、情報を最新のものにし、人員等を更新しているところです。登録期間の延長につきましては、再生医療等定期報告書をご覧ください。予定症例数の登録が終了しなかったため、1年間延長としました。原因としましては、全国から患者を紹介してもらって移植療法を行っていますが、**COVID-19** 感染症の発症以降、移植の実施が難しくなっていることと、県をまたいだ患者の紹介が難しくなっているため 2 例が残ったまま 1 年が経過してしまったという経緯があります。1 年間期間延長し、登録可能な状況に戻るか見たいと思います。統計的などころでは、統計担当の先生に相談をしたところ、今の登録症例数でもデータの解析を行うには問題のない数ではあるという意見をいただいているが、延長期間の間にどのように対応するかについて検討したいと思っています。それ以外の変更内容につきましては、人員の異動に伴った変更となっています。先進医療の変更につきましては、情報のアップデートを行っており、担当者や登録期間の延長について等申請を行っています。試験実施計画書につきましては、不具合報告について追加しています。統計解析計画書については、九州

大学のデータセンターに作成をしていただいていたが、修正が必要であるという連絡があり、それに対応した変更となっております。基本的には、統計解析の実際の内容については、変更はありません。以上です。

谷委員長：ありがとうございました。人員の変更につきまして、資格については問題ないということでしょうか。

説明者：はい、問題ないと思います。

谷委員長：委員の皆様ご質問等ございませんでしょうか。

河原委員：12 症例を目標としてあと 2 例、というご説明でしたが、10 例が既に登録されているということでしょうか。

説明者：はい。2020 年 3 月の後に 1 例追加で登録されておりますので残りは 2 例となっております。

(委員会資料確認時に、委員より「資料 5、変更対比表の「4 試験デザイン」で単施設から多施設への変更がされている。また、資料 6、第 II 相臨床試験実施計画書の「3.1 デザイン」にも多施設と記載がされていますが、資料 2、再生医療等提供計画（研究）の「(3) 多施設共同研究に関する事項」では多施設共同研究の該当の有無の「無」にチェックが入っている。」という指摘があり、説明者より「元々、以前の変更時に、多施設での実施を予定して試験実施計画書等は多施設共同研究へ対応可能なように変更したが、その際は症例登録が非常に迅速だったことから単施設での実施を継続していました。再生医療等提供計画も同様に多施設共同研究—共同研究施設なしの記載で提出の予定だったのですが、jRCT への移行に伴って、多施設共同研究の該当「有」とした場合、共同研究施設を必ず入力しなくてはならない仕様となってしまう、厚労省に確認して再生医療等提供計画については、多施設共同研究の該当「無」での提出とした経緯があります。」という回答があった。)

河原委員：多施設共同研究の入力に関しましては、jRCT のシステムの仕様上「無」で入力をされているということでしたが、今後期間延長を行い多施設共同研究になり得る場合、想定されている共同研究機関があるのでしょうか。

説明者：他の機関から問い合わせを受けたことがあったり、関連施設に依頼する話も出たことはありますが、現在のところ covid-19 感染症の様子をみて相談していきたいと考えてい

ます。

河原委員：不明瞭な状況であるが、今後多施設共同で研究を行う可能性がでてきたら、また変更も検討されるということですね。

説明者：そのとおりです。

谷委員長：他に質問等はございませんか。

笠井委員：今の指摘事項に関連しまして、他の施設で該当する患者さんが見つかった場合、患者さんが九州大学病院へ転院されるのか、先方の病院でアフエーシスを行い、細胞を九州大学病院へ送付して調整をされるということになるのでしょうか。

説明者：今までのところ、半分の症例が福岡県内で、その他は県外から紹介いただいています。細胞採取、投与の期間について当院に入院して先進医療を実施しています。また、観察のタイミングである 1 ヶ月後や半年後に来院していただき、データ収集を行っています。その間の処方等は、かかりつけ医で行ってもらい、処方変更等あれば連絡をいただく、ということに対応を行っております。

笠井委員：わかりました、ありがとうございました。

谷委員長：他にはいかがでしょうか。

現状の 10 人の患者さんの状態、安全性や有効性について簡単にご説明いただけますでしょうか。

説明者：ひとまず 5 例目の時点で効果安全性評価委員会にデータを提出し、確認していただいております。問題等はありませんでした。スキンスコアに関しては、しっかり下がっていることが確認できています。副作用については、今のところ 3 件ほど重篤な副作用の報告は行っていますが、命に別条はない状況が続いています。三苦先生より何かございますか。

説明者（三苦医師）：移植直後の血球減少期に感染症等、予測される有害事象はございますが、退院後については大きな有害事象はなく、10 例とも経過されています。皮膚硬化については、平均的に改善がみられておりますし、間質性肺炎についてはほぼ全例で進行の停止が得られており、一部の症例では肺活量の改善が得られております。

谷委員長：ありがとうございます。素晴らしい結果がでていると思いますので、今後も慎重

に実施していただくことを希望しております。他に質問等がございますか。

野波委員：期間延長ということですが、延長して 2 症例登録されない可能性もあるかと思いますが、その時は延長か、もしくは統計的に問題なければ終了するというものもあるのでしょうか。

説明者：そのことにつきまして現在検討中で、AMED からの研究費も来年で終了になりますので、統計的にある程度問題なく、これ以上の登録がかなり厳しいということになれば、現在の最終登録症例が来年 12 月頃に観察期間が終了しますので、そこで終了して結果報告ということも検討しております。

野波委員：資金面について、過去に他の例で、1 年間の延長までは行えたが、2 年以上の延長を行うには金銭的に難しく、その後の存続が難しくなったという臨床試験の例も聞いたことがありますので、統計的に中止することが難しそうであるとなった場合に、次の資金面についても早めに検討されたほうがよいのではないかと思います。

説明者：ありがとうございます。

谷委員長：ありがとうございました。他にはよろしいでしょうか。  
それではご退出お願いいたします。

(説明者退出)

谷委員長：委員の皆様、ご議論いただきましてありがとうございました。安全性及び科学的妥当性を踏まえて確認を行った結果、承認するということがよろしいでしょうか。

委員全員：(承認)

谷委員長：それでは承認とさせていただきます。ありがとうございました。