

先進医療総括報告書の指摘事項(一色座長代理)に対する回答 1

先進医療技術名：ベペルミノゲンペルプラスミドによる血管新生療法

2018年3月6日

所属・氏名：大阪大学医学部附属病院 老年・高血圧内科 教授 樂木 宏実

1. 潰瘍の大きさが改善したとされる1例について、症例検討会において「投与前から計測不能の潰瘍と認められていることから、本先進医療Bの実施計画書に定める『新規潰瘍』とはみなさず、評価可能例として取り扱う」とされていますが、計測不能とされていた理由をご説明ください。

【回答】

2016年11月15日の診療録に「治療開始前では評価可能サイズではなかった」との記録がありました。2017年1月17日に詳細について、モニターが担当医に確認したところ、以下の見解が得られました。

- 潰瘍の発生部位は、当研究参加前から潰瘍の発症を繰り返していた部位であった。
- 前観察期間での評価では、潰瘍は肉芽形成の評価が出来ないほど軽快しており、潰瘍としての評価は出来ないレベルであった。

上記の2つ目の内容から当該潰瘍については、計測不能の潰瘍としました。

以上の経緯から、症例検討会では、本症例については、本先進医療Bの実施計画書に定める『新規潰瘍』とはみなさず、評価可能例として取り扱うことに致しました。

2. 同一肢内に複数の潰瘍がある症例での解析対象病変の取り扱いについてご説明ください。

【回答】

同一肢内に複数の潰瘍がある症例の取り扱いについては、PRT で以下のように取り決めています。

PRT P55 11.9.1.1 主要評価項目の評価方法 (2) 潰瘍の評価

潰瘍が多発性の場合、全ての潰瘍を評価する。投与対象肢の潰瘍の部位を記録し、通し番号で「潰瘍 No」を付番する。ただし、主要評価対象は観察期 2 週間において計測可能な最大潰瘍とする。

以上

## 先進医療総括報告書の指摘事項(一色座長代理)に対する回答2

先進医療技術名：ベペルミノゲンペルプラスミドによる血管新生療法

2018年3月6日

所属・氏名：大阪大学医学部附属病院 老年・高血圧内科 教授 樂木 宏実

1. 「先進医療総括報告書の指摘事項に対する回答1」の症例の4つの潰瘍のうち、どれを主要解析対象としたのかについては治療開始の時点で宣言されていましてでしょうか。また、提出資料に記載はございますでしょうか。ご説明ください。

### 【回答】

投与対象肢に複数の潰瘍が観察された場合に、どの潰瘍を主要解析対象とするのかはPRTで以下のように取り決めています。

PRT P55 11.9.1.1 主要評価項目の評価方法(2) 潰瘍の評価

潰瘍が多発性の場合、全ての潰瘍を評価する。投与対象肢の潰瘍の部位を記録し、通し番号で「潰瘍 No」を付番する。ただし、主要評価対象は観察期2週間において計測可能な最大潰瘍とする。

計測可能な最大潰瘍については潰瘍径から判断され、一意に特定できると考えたため、治療開始時点の宣言や、提出資料中での特別な記載はしていません。

以上