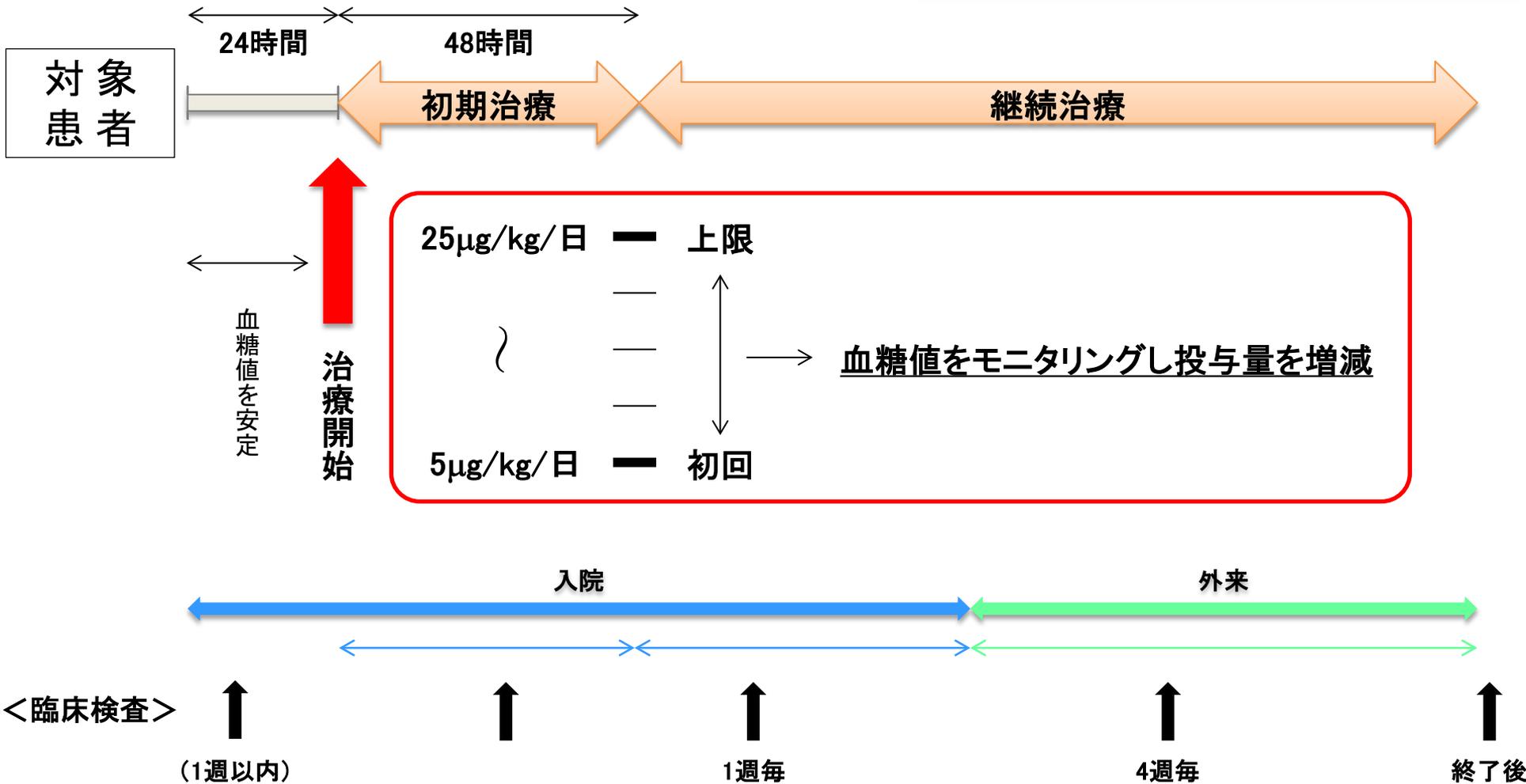


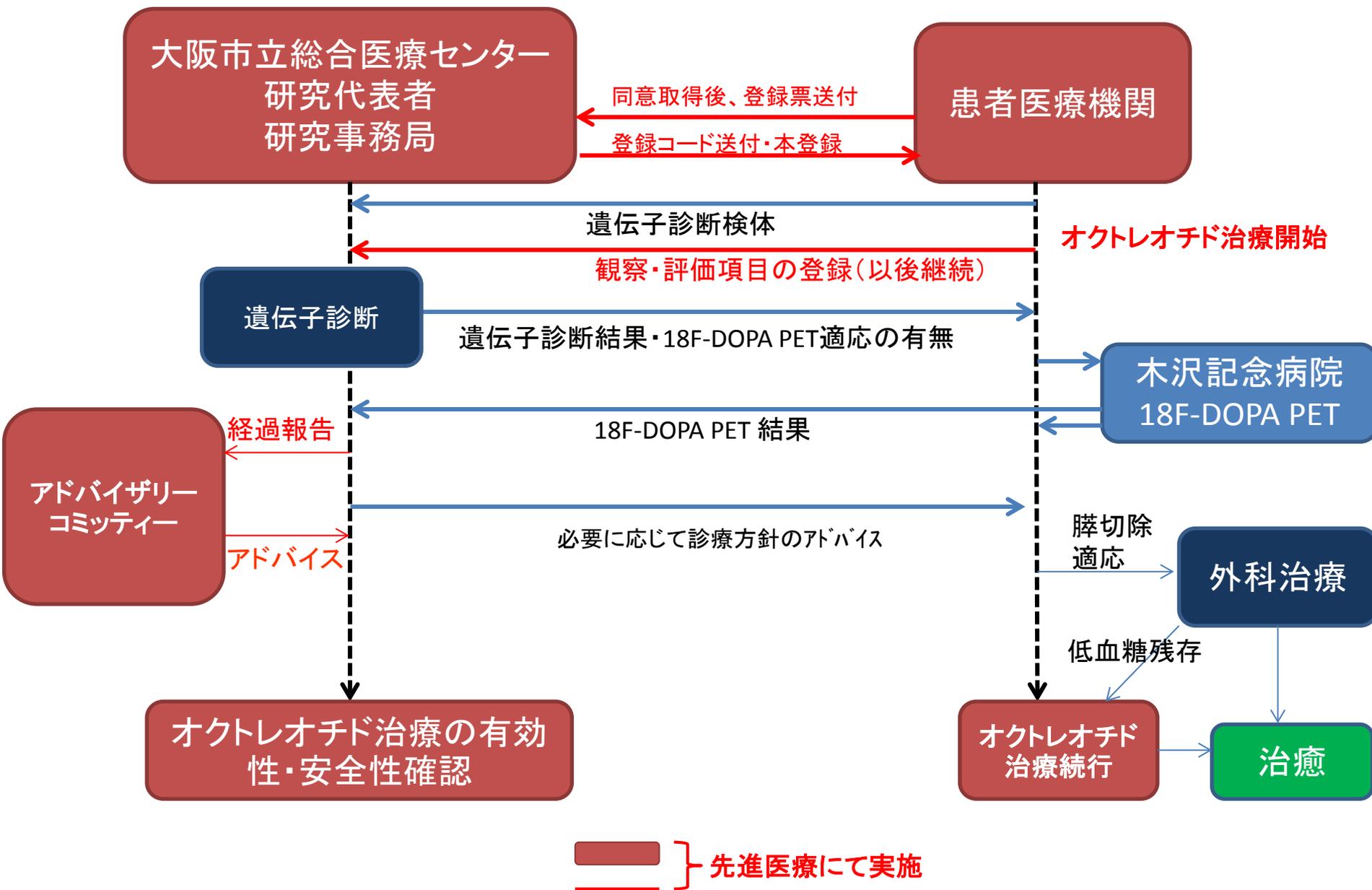
# オクトレオチド治療の概略

第58回先進医療技術審査部会

資料3-2

平成29年5月18日





# 薬事承認申請までのロードマップ

## 先進医療

試験名: 先天性高インスリン血症に対するオクトレオチド持続皮下注射療法の有効性・安全性に関する臨床試験 (SCORCH study)

試験デザイン: 多施設共同非盲検試験

期間: 2013年～2015年

症例数: 5症例

|                     |                               |
|---------------------|-------------------------------|
| 評価項目                | 有効性 - 主要評価項目: 短期有効率 (平均血糖値上昇) |
|                     | 副次評価項目: 1) 長期有効率 (ブドウ糖輸液量)    |
|                     | 2) 発達指数                       |
|                     | 3) 低血糖発現                      |
| 安全性 - オクトレオチド治療の安全性 |                               |

## レジストリ

試験名: 先天性高インスリン血症に対するオクトレオチド皮下注射療法レジストリ (SCORCH registry)

デザイン: 観察研究

期間: 2013年～2015年

症例数: 15症例

|                     |                                     |
|---------------------|-------------------------------------|
| 評価項目                | 有効性 - 主要評価項目: 投与開始4週後の有効率 (ブドウ糖輸液量) |
|                     | 副次評価項目: 1) 投与開始4週後以外の時期の有効率         |
|                     | 2) 発達指数                             |
|                     | 3) 低血糖発現                            |
| 安全性 - オクトレオチド治療の安全性 |                                     |

## 先行臨床例

先天性高インスリン血症に対するオクトレオチドの安全性・有効性のレトロスペクティブな検討

公知申請

薬事承認

## 欧米での現状

薬事承認 (米国: 無、欧州: 無)、ガイドライン記載: 有、進行中の臨床試験: 無