

10. 目標症例数と試験期間

10.1. 目標症例

10例（適格症例で、かつ骨髄液採取ができた症例）

10.2. 試験期間

10.2.1. 登録期間

登録期間は2007年8月より2009年7月までとする。

10.3. 治療期間

自己血清調製のための末梢血採取日より間葉系幹細胞移植後2年とする。

11. エンドポイントの定義

11.1. 主要エンドポイント

11.1.1. 病期

手術前と術後2年目（術後23ヶ月～25ヶ月）のX線画像による厚生労働省素案及びSteinberg分類²¹⁾に基づく病期

11.2. 副次エンドポイント

11.2.1. 大腿骨頭内海綿骨量

手術前と術後1年目（術後11ヶ月～13ヶ月）及び術後2年目（術後23ヶ月～25ヶ月）における罹患骨内海綿骨占有体積の比率（CT画像を三次元再構築して算出）。

撮像方法

Aquillion 64 Toshiba medical systemを用いて撮影する。

- ① 患者を仰臥位にして撮影する。
- ② 撮影スライスは1mmで行う。
- ③ 大腿骨頭のROIを囲んでCT値総和/面積総和を求める。
- ④ これらを各スライスで実行し海綿骨占有体積を計算する。

11.2.2. 臨床症状

日本整形外科学会股関節機能判定基準に基づく点数評価を用いる²⁹⁾

手術前と術後1年目（術後11ヶ月～13ヶ月）及び術後2年目（術後23ヶ月～25ヶ月）における点数。

日本整形外科学会股関節機能判定基準²⁸⁾ 右左、各100点満点

評価項目	内容	点数
疼痛	股関節に関する愁訴が全くない	40
	不定愁訴（違和感、疲労感）があるが、痛みはない	35
	歩行時痛みはない（ただし歩行開始時あるいは長距離歩行後疼痛を伴うことがある）	30
	自発痛はない。歩行時疼痛はあるが、短時間の急速で消退する	20
	自発痛は時々ある。歩行時疼痛はあるが、短時間の急速で消退する	10
	持続的に自発痛または夜間痛がある	0
可動域—屈曲 (10° 刻みに計測)	≥120°	12
	120° >	角度×0.1
可動域—外転 (10° 刻みに計測)	≥30°	8
	30° >	角度×0.1
歩行能力	長距離歩行、速歩が可能、歩容は正常	20
	長距離歩行、速歩は可能であるが、軽度の跛行を伴うことがある	18
	杖なしで、約30分または2km歩行可能である。跛行がある。日常の屋外活動にほとんど支障がない	10
	屋内活動は出来るが、屋外活動は困難である。屋外では2本杖を必用とする。	5
	ほとんど歩行不能	0
日常生活動作—腰かけ	容易	4
	困難	2
	不能	0
日常生活動作—立ち仕事	容易	4
	困難	2
	不能	0
日常生活動作—しゃがみこみ・立ち上がり	容易	4
	困難	2
	不能	0
日常生活動作—階段の昇り降り	容易	4
	困難	2
	不能	0
日常生活動作—車、バスなどの乗り降り	容易	4
	困難	2
	不能	0

11.2.2. 有害事象の発生

重篤な有害事象発生の有無

11.3. エンドポイントの評価

11.3.1 主要エンドポイント：

患者背景を知らされていない試験外院内医師1名及び試験外院外医師2名により構成され、エンドポイント評価委員会により、盲検的に評価する。

11.3.2. 副次エンドポイント

- 1) 大腿骨頭内海綿骨量：エンドポイント評価委員会が行う。
- 2) 臨床症状（日本整形外科学会股関節機能判定基準）：試験担当医師が行う。

12. 統計学的考察

12.1. 目標症例数の設定根拠

大腿骨壊死は稀な疾患であり、研究責任者が統括する京都大学医学部附属病院整形外科外来における年間新患症例数は約10例と推定される。これらのうち、適格規準を満たし、かつ臨床試験への参画を同意して頂ける症例数として上記目標症例数を設定した。

12.2. 解析対象集団

手術が施行された全適格症例を解析対象とする。

12.3. 解析方法

12.3.1. 病期

手術前の病期と術後2年目あるいはプロトコル治療の中止時での病期を判定し、病期が進行した症例を病期進行例と分類し、病期進行割合（病期進行例数/細胞移植施行例数×100%）を算出する。

12.3.2. 骨量判定

手術前と術後1年目及び術後2年目あるいはプロトコル治療の中止時でのCT画像を三次元再構築し、罹患骨内海綿骨占有体積の比率を算出し、改善度（術後2年時罹患骨内海綿骨占有率/登録時罹患骨内海綿骨占有率×100%）を算出する。

12.3.3. 臨床症状

手術前と術後1年目及び術後2年目での臨床症状を比較する。

12.3.4. 有害事象

有害事象の種類別に集計する。

12.4. 中間評価

治療法の安全性と有効性を確認するために、第3例が術後3ヶ月経過した段階で、独立