

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】

福島県立医科大学附属病院

【先進医療告示番号と名称】

大臣告示番号 4

重症低血糖発作を伴うインスリン依存性糖尿病に対する脳死ドナー又は心停止ドナーからの膵島移植

【適応症】

重症低血糖発作を伴うインスリン依存性糖尿病

【試験の概要】

膵島移植は、血糖不安定性を有するインスリン依存状態糖尿病に対して、他人より提供された膵臓から分離した膵島組織を移植することで血糖の安定性を取り戻すことを可能とする医療である。局所麻酔下に膵島組織を門脈内に輸注する方法で移植され、低侵襲かつ高い安全性を有することが特徴である。本治療法においては、血糖安定性を獲得するまで移植は複数回（原則 3回まで）実施でき、免疫抑制法は新たに有効性が確認されているプロトコールが採用されている。

本試験は血糖不安定性を有する重症インスリン依存性糖尿病に対して免疫抑制剤併用下に膵島移植を複数回実施し、初回移植から1年後(365日±14日後)にHbA1c値(NGSP値)<7.4%であり、かつ初回移植後90日から移植後1年にかけて重症低血糖発作が消失した患者の割合を主要評価項目として実施される、多施設共同非盲検単群試験である。

【実施期間】

被験者登録期間：平成23年2月21日～平成31年2月20日

研究実施期間：平成23年2月21日～平成33年5月20日

【予定症例数】

20 症例

【現在の登録状況】

9 症例（2019 年 1 月 28 日現在）

【主な変更内容】

1. 中間モニタリングの追加
2. 国立国際医療研究センターの先進医療施設追加
3. 監査の追加
4. 維持免疫抑制剤に対する負担に関する説明文書記載内容変更

【変更申請する理由】

1. 本治療法が有効であった場合に、早期に本試験を中止し結果を公表すべき観点から、有効性に関する中間モニタリングを実施する。症例の主要エンドポイントが確定するごとに、ベイズ流に達成割合の事後確率を推定し、達成割合が 40%を超える確率が 90%を超えた場合に、本試験の早期中止（有効中止）を検討することとした。
2. 目標症例数の達成のため、施設を追加し、実施可能性を高めるため。
3. 近年の臨床試験に関する実施環境の変化に応じて監査を追加するため。
4. 維持免疫抑制剤については、これまで先進医療実施期間以降は自己負担になるとの記載であったが、「臍移植」として薬事承認されている免疫抑制剤については、その効能・用法・用量が同一であり、目的も一緒であることから保険診療が可能であることが確認されたため。

【試験実施計画の変更承認状況】

平成 30 年 11 月 12 日付けで京都大学特定認定再生医療等委員会より意見書をいただき、平成 31 年 2 月 4 日に再生医療部会の承認を得ており、変更届が東北厚生局に提出されている。