

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12月23日現在)

独立データモニタリング委員会で試験の早期中止（有効中止）の勧告がでたため登録終了

※実施計画書に従い、2019年11月に中間モニタリング（中間解析）を実施した。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365日にかけて重症低血糖発作が消失した患者の割合は75%であった。ベータ分布Beta(12,5)を事前分布として採用し、ベイズ流に達成割合の事後確率を推定した。達成割合40%を超える確率が99.9%であり、目標となった90%を超えた。

これをうけて、2019年11月18日に独立データモニタリング委員会が開催され、中間モニタリングの結果を検討の上、有効と判断し、審議の結果、試験を中止（早期有効中止）することで了解が得られた。本臨床試験は、再生医療等安全性確保法のもとでも実施している試験であり、今後、早期中止に関しては、同法に基づく手続きを進める予定である。

【主な変更内容】

1. 再生医療等の安全性の確保等に関する法律関連通知の改正による変更

【変更申請する理由】

1. 「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」、「再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行令」及び「再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行規則」の取扱いについて」の一部改正について（平成31年4月1日医政研発0401第1号）をはじめとし、関連通知が改正されたため、再生医療等提供計画をはじめ、試験実施計画書等、通知で求められている事項を追記・修正した。

【試験実施計画の変更承認状況】

令和元年8月9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、令和元年12月11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。