

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】

地方独立行政法人東京都立病院機構 東京都立小児総合医療センター

【先進医療告示番号と名称】

大臣告示番号 B35

ボツリヌス毒素の膀胱内局所注入療法

【適応症】

神経因性排尿筋過活動による膀胱機能障害（五歳以上十八歳未満の患者に係るものに限る。）

【試験の概要】

神経因性排尿筋過活動(NDO)による膀胱機能障害に対するボツリヌス毒素の膀胱内局所注入療法は、NDOの臨床症状の改善が期待でき、侵襲性の高い膀胱拡大術を回避しつつ長期的な腎機能保持ができる可能性がある。一方で、現時点で小児の当該疾患に対する保険適応はない。さらに、本邦において小児に対する泌尿器科領域の使用実績がなく、小児への投与手技の普及も必要と考えられる。本試験では、小児のNDOによる膀胱機能障害に対するボツリヌス毒素の膀胱内局所注入療法の毒性を評価しつつ、推奨用量を決定する。

- ・ 主要評価項目:1 用量規制毒性(DLT)、2 最大耐容量(MTD) および推奨容量(RD)
- ・ 副次評価項目:1. 1日当たりの尿失禁回数の改善する患者割合、2. 1日当たりの尿失禁回数の変化、3. 健康アウトカムの変化(modified Total Benefit Scale [mTBS]に基づく有用性、Dysfunctional Voiding Symptom Score [DVSS]に基づく生活の質 [QOL]、Pediatric Incontinence Questionnaire [PinQ]に基づく生活の質 [QOL])、4. 有害事象の発生割合(各々の重症度、回復性、試験治療との因果関係、用量相関性)
- ・ 予定症例数:最大 12 例

【医薬品・医療機器情報】

品目名	製造販売業者名 及び連絡先	規格	医薬品医療機器 法承認 又は 認証番号 (16桁)	医薬品医療機器 法承認又は 認証上の適応	医薬品医療機器法 上の適応 外使用の 該当
ボトックス注 用	グラクソ・スミスク ライン株式会 社 カスタマー・ケ ア・センター TEL:0120-561- 007 FAX:0120-561- 047	50単 位 100 単位	22100AMX00488 22100AMX00489	眼瞼痙攣、片側顔 面痙攣、痙攣性斜 頸、上肢痙縮、下 肢痙縮、2歳以 上の小児脳性麻 痺患者における 下肢痙縮に伴う 尖足、重度の原発 性腋窩多汗症、 斜視、痙攣性発声 障害	適応外

【実施期間】

被験者登録期間： 2020年1月1日～2022年9月30日

研究実施期間： 2020年1月1日～2024年3月31日

【予定症例数】

9～12 症例

【現在の登録状況】

6 症例（2022年10月1日現在）

【主な変更内容】

1. 実施予定期間の延長

登録期間

<変更前> 2020年1月1日～2022年9月30日

<変更後> 2020年1月1日～2023年9月30日

予定試験期間

<変更前> 2020年1月1日～2024年3月31日

<変更後> 2020年1月1日～2025年3月31日

2. 組織名称の変更

＜変更前＞ 東京都立小児総合医療センター

＜変更後＞ 地方独立行政法人東京都立病院機構

東京都立小児総合医療センター

【変更申請する理由】

1. 目標症例数を達成するのに研究期間の延長が必要なため。新型コロナウイルス感染症の流行に伴い、本試験の実施に制限があったため、研究進捗に影響があった。過去1年間に3症例が登録されたことから、1年間の登録期間の延長により、目標症例数（最低9例）を達成できると考える。
2. 東京都の組織改革により、東京都の運営から地方独立行政法人東京都立病院機構の運営に変更したため。

【試験実施計画の変更承認状況】

期間延長並びに関連文書の記載修正について2022年10月14日に関連文書の記載修正について地方独立行政法人 東京都健康長寿医療センター認定臨床研究審査委員会にて承認された。

以上