

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】

国立研究開発法人 国立循環器病研究センター

【先進医療告示番号と名称】

大臣告示番号 B54

テネクテプラーゼ静脈内投与療法

【適応症】

脳梗塞（発症から四・五時間以内のものに限る。）

【試験の概要】

脳梗塞急性期に対して、血栓溶解薬テネクテプラーゼの有効性と安全性を確立する。具体的には、発症後4.5時間以内の脳主幹動脈閉塞による脳梗塞急性期患者におけるテネクテプラーゼの安全性（症候性頭蓋内出血の有無及び凝固線溶系マーカー）を少数例で確認（安全性検討フェーズ）する。その後、有効性（脳主幹動脈閉塞の再開通効果）及び安全性をアルテプラーゼを対照として非マスキング無作為化並行群間比較試験にて検討し、試験薬開始後早期の良好な血管再開通に関するテネクテプラーゼのアルテプラーゼに対する優越性を証明する。

【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（注1）	医薬品医療機器法上の適応外使用の該当（注2）
テネクテプラーゼ （商品名 TNKASE）	Genentech 社（米国）	40mg 50mg	国内未承認	国内未承認	未承認

【実施期間】

被験者登録期間：2021年9月1日～2023年9月30日

研究実施期間：2021年9月1日～2024年3月31日

【予定症例数】

226 症例

【現在の登録状況】

113 症例（2023年8月7日現在）

（安全性検討フェーズ 4 例、比較検証フェーズ 109 例）

【主な変更内容】

研究期間の延長

<変更前> 総研究期間：先進医療告示日（2021年9月1日）～2024年3月31日
（登録期間：～2023年9月30日）

<変更後> 総研究期間：先進医療告示日（2021年9月1日）～2027年3月31日
（登録期間：～2026年9月30日）

【変更申請する理由】

近年おこったコロナ禍やウクライナ情勢に伴うテネクテプラーゼの製造工場の稼働低下・大陸間の薬剤輸送問題が生じ、同時に円安となる大幅な為替変動があり、試験薬であるテネクテプラーゼが試験開始当初 80 万円程度から 170 万円にまで高騰した。従来の研究資金では試験薬の調達が困難になったため、試験の進捗が遅延してしまい、実施期間を延長するため研究期間を 3 年間延長することを申請する。現在も試験薬であるテネクテプラーゼの世界的な供給困難が継続しており、試験薬の入手に難渋しているため、各施設に配付できず、登録が一旦停止している施設が 7 施設ある。恒常的に試験薬が調達できるようになれば全施設で月に平均 6 件程度の登録があり、残りの症例数 115 例を 18 施設で完了するまでに 19 ヶ月を見込んでいる。その後各症例を 3 ヶ月間追跡調査し、統計学的な集計・解析・データクリーニングを行ったところで、発表・論文掲載までおおよそ 1 年を考慮しているため、合計で 3 年間（36 ヶ月）の延長とした。数年以内にテネクテプラーゼの世界的な供給の安定が起こることが想定されているため、試験薬の入手が効率的に行える可能性がある。なお本試験の薬剤費は患者負担でなく、研究者負担である。

【試験実施計画の変更承認状況】

試験期間の延長に関する関連文書の記載修正について、2023年7月31日の京都大学臨床研究審査委員会にて承認された。