

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 B15

遺伝子組換え活性型血液凝固第Ⅶ因子製剤静脈内投与療法

【適応症】

脳出血（発症から二時間以内のものに限る。）

【試験の概要】

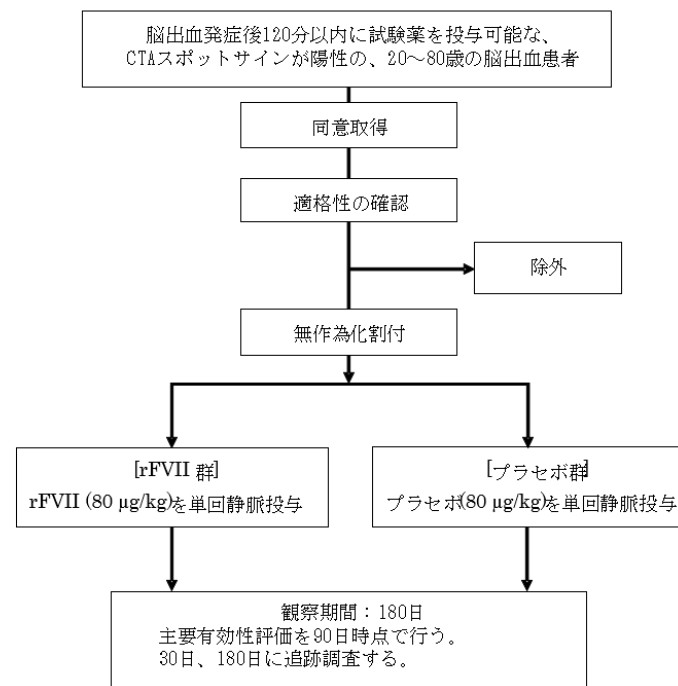
Part1 試験では、発症後2時間以内の非外傷性脳出血患者を対象にした、遺伝子組換え活性型血液凝固第Ⅶ因子製剤（rFVIIa）の有効性、安全性を検討することを目的とした第Ⅲ相国際多施設共同二重盲検偽薬対照無作為化並行群間比較臨床試験。米国シンシナティ大学脳神経内科の Joseph Broderick 教授を国際研究代表者とし、日米加独西英の6か国が参加。Part2では、「発症後2時間以内の脳出血でCTAスポットサインが陽性の患者を対象としたrFVIIと偽薬投与の治療効果を比較し、rFVIIaの有効性と安全性を検証する。

○主要有効性評価項目

90日時点での修正ランキンスコア（modified Rankin Scale: mRS、0～6の7段階）を0～2, 3, 4～6の3段階に組み直した場合の順序尺度の分布。

○主要安全性評価項目

試験薬投与完了後最初の4日間の生命を脅かす血栓塞栓性合併症（急性心筋虚血、急性脳梗塞、急性肺塞栓症）の発現



【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)
ノボセブ ン®	ノボ ノル ディスク ファーマ Novo Nordisk A/S, Novo Allé, 2880 Bagsværd, Denmark +45 4444 8888	1mg 2mg 5mg 8mg	22600AMX00908000 22600AMX00909000 22600AMX00910000 22600AMX01282000	血液凝固第Ⅷ因子又は第Ⅸ因子に対するインヒビターを保有する先天性血友病患者の出血抑制・後天性血友病患者の出血抑制・先天性第Ⅷ因子欠乏症患者における出血傾向の抑制・血小板に対する同種抗体を保有し、血小板輸血不応状態が過去又は現在みられるグラントマン血小板無力症患者の出血傾向の抑制	適応外

【実施期間】

被験者登録期間：jRCT 公表日（2020年11月1日）～2030年6月30日

研究実施期間：jRCT 公表日（2020年11月1日）～2031年3月31日

【予定症例数】

860例の登録を予定していたが、今回 Part 1 について 626 例で症例登録を停止し、Part 2 として最大 350 例を登録予定とする。

【現在の登録状況】

世界全体で 722 例、日本国内 301 症例（2026年5月26日現在）

【主な変更内容】

1. 【選択基準】

Part2 の選択基準として、「スポットサインの有無を問わず発症後 90 分以内の脳出血患者」を加える。

2. 【参加国】

豪州とフィンランドの参加を予定しており、これらを加える。

【変更申請する理由】

本臨床試験で被験者の半数が主要評価項目について評価された時点で予定されていた中間解析において、米国国立神経疾患・脳卒中研究所（NINDS）および独立データ安全性モニタリング委員会から全体的な無益性のため一旦登録中止が勧告された。この結果については FASTEST Part1 として Lancet 誌に掲載された（Broderick JP, et al. Lancet 2026 Feb 21; 407(10530): 773-783）。

中間解析では、ベースラインの CT 血管造影でスポットサイン（脳出血の血腫拡大の予測因子と見做される）が認められた被験者に対する rFVIIA の脳出血拡大の低下が指摘され、スポットサイン陽性を選択基準に加えた Part 2 の研究が、FDA、NINDS の承認を得られ、我が国を含めて試験進行中である。Lancet 誌に公開された解析では、スポットサイン陽性の患者群に加え、スポットサインの有無を問わず 90 分以内に試験薬が投与された患者群における試験薬の有効性が示唆された。このため、進行中の Part2 試験の選択基準として、「スポットサインの有無を問わず発症後 90 分以内の脳出血患者」を加えることが FDA、NINDS で承認され、米国では試験進行中である。

今回の選択基準は、Part1 の対象患者の中で最も効果が見込まれる患者サブグループを特定し、対象を絞った研究計画に修正したものであり、Part1 での選択基準を逸脱したものではない。

Part2 で患者群を絞ったことで患者登録速度が低下したため、豪州、フィンランド施設の参加が予定されている。

【試験実施計画の変更承認状況】

京都大学臨床研究審査委員会

(jRCTs051200076) 2026 年 4 月 27 日承認済