

先進医療 B 実施計画等評価表 (番号 B014)

評価委員 主担当：山中
副担当：金子 副担当：佐藤 技術委員： ー

先進医療の名称	先天性高インスリン血症に対するオクトレオチド持続皮下注射療法
申請医療機関の名称	大阪市立総合医療センター
医療技術の概要	生後2週以後～1歳未満のジアゾキサイド不応性高インスリン血症患者に対して、ポータブルインスリン用輸液ポンプを用いたオクトレオチド持続皮下注射の有効性と安全性を検討する多施設共同非盲検単群試験。

【実施体制の評価】 評価者：金子

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
<p>コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） 既に適応外で施行されている治療であり、申請施設、予定参加施設の体制も問題ない。稀少疾患の薬事承認のモデルケースとして注目したい。</p>	
<p>実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。） 実施体制とは関係がありませんが、同意・説明文書2ページ目最後の行で“新生児・乳児期に多く発症し”とありますが、“極めて稀に”のほうが適切と思います。</p>	

【倫理的観点からの評価】 評価者：佐藤

4. 同意に係る手続き、同意文書	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
5. 補償内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
<p>コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） 説明文書はわかりやすくできている。補償は、保険で対応するとのことである（保護者向けの補足資料も確認したが、標準的な内容である）。患者相談等の対応もされている。 （患者相談等の対応が整備されているか、についても記載下さい。）</p>	
<p>実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）</p>	

【試験実施計画書等の評価】 評価者：山中

6. 期待される適応症、効能及び効果	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input type="checkbox"/> 不適
7. 予測される安全性情報	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input type="checkbox"/> 不適
8. 被験者の適格基準及び選定方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input type="checkbox"/> 不適
9. 治療計画の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input type="checkbox"/> 不適
10. 有効性及び安全性の評価方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input checked="" type="checkbox"/> 不適
11. モニタリング体制及び実施方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input type="checkbox"/> 不適
12. 被験者等に対して重大な事態が生じた場合の対処方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input type="checkbox"/> 不適
13. 試験に係る記録の取扱い及び管理・保存方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input type="checkbox"/> 不適
14. 患者負担の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input type="checkbox"/> 不適
15. 起こりうる利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input type="checkbox"/> 不適
16. 個人情報保護の方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input type="checkbox"/> 不適

コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）

実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）

- ・ 希少疾患である先天性の高インスリン血症が対象であり、さらにジアゾキシド抵抗性の場合の第二選択肢として位置づけられる治療法であることから、治療対象数は更に少なくなると考えられる。少数例の評価に留まることについては了承する。また、被験者ごとに平均血糖値の上昇や平均ブドウ糖静注量の減少を検討する方針にも異議はない。
- ・ しかし、評価に用いられるデータの測定時点が「48時間以内」と不明確である上に、どの統計解析手法を想定しているのかについて記載がない。この点を明確にされたい。
- ・ 対照群が設定されていないことを踏まえると、本試験の結果がどのような場合に臨床的な意義を有すると言えるのか、事前に明確にしておくことが望ましい。
- ・ 安全性について若干の懸念はあるが、過去1-3年の文献に基づいた用量設定であり、現時点では、経験的に安全性が高いと考えられる妥当な用量設定と考える。
- ・ アドバイザリーコミッティのメンバーが1名を除いて全員が試験関係者である。試験ステアリングコミッティのような役割としては了解できるが、重篤な有害事象に関する評価や試験の進行を管理する独立データモニタリング委員会のような第三者機関として考えているのであれば、適切とは言えない。アドバイザリーコミッティの位置づけとメンバーについて整理すること。
- ・ 試験の監査を行うことが望ましい。

【1～16の総評】

総合評価	適	条件付き適	継続審議	不適
予定症例数	5例		予定試験期間	～平成28年3月31日
<p>実施条件：（修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。）</p> <p>非常に稀な新生児疾患を対象とした治療開発である。日本および欧米の複数の治療ガイドラインが当該疾患に対する本医療技術について言及しているが、これまでいずれの臨床試験も実施されていない。そのような現状を踏まえて、本研究の実施後に公知申請を行う計画となっており、意義のある申請と評価する。計画書の内容やデータセンター体制についても、解析部分以外については概ね問題ない。上記の実施条件欄に記載の事項の修正が適切になされれば、適と判断する。</p>				
<p>コメント欄（不適とした場合は、その理由を必ず記載ください。）</p>				