

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】

大阪市立総合医療センター

【先進医療告示番号と名称】

告示番号 40

オクトレオチド皮下注射療法

【適応症等】

先天性高インスリン血症（生後二週以上十二月未満の患者に係るものであって、ジアゾキサイドの経口投与では、その治療に係る効果が認められないものに限る。）

【試験の概要】

ジアゾキサイド不応性先天性高インスリン血症（高インスリン血性低血糖症）を対象にオクトレオチド持続皮下注射療法の有効性、安全性を検討する多施設単群非盲検試験。有効性の主要評価項目は短期有効性（投与開始前 24 時間と、投与開始後 48 時間以内で同一治療条件ごとの平均血糖値を患者ごとに比較し、投与前と比較して 50mg/dL 以上上昇したものを有効例とし有効例/総患者数を有効率として評価する）、副次評価項目は長期有効性（ブドウ糖輸液量が 6mg/kg/分（8.64g/kg/日）以下に減量できたものを有効例、離脱できたものを著効例とし、有効例/総患者数を有効率、著効率/総患者数を著効率として評価する）、発達予後及び治療中の低血糖である。安全性の評価項目は身体計測値、有害事象、臨床検査、腹部超音波検査、胸部超音波検査・心拍モニターによる心合併症の評価で、予定組み込み症例数は 5 例である。初期治療は入院にて行い、症状改善に応じて外来治療へ移行して継続する。

【医薬品・医療機器・再生医療等製品情報】

- ・サンドスタチン皮下注用 100 μ g
ノバルティスファーマ株式会社

【実施期間】

平成 26 年 1 月 1 日から平成 28 年 3 月 31 日

（登録期間：平成 27 年 3 月 31 日まで）

【予定症例数】

5 症例

【現在の登録状況】

平成 26 年 12 月 22 日現在

実施医療機関	同意取得数	登録数
大阪市立総合医療センター	2	2
新潟市民病院	1	1
北海道大学病院	1	1

【主な変更内容】**① 試験期間の延長：**

平成 28 年 3 月 31 日 → 平成 29 年 3 月 31 日まで（12 ヶ月）
（登録期間：平成 27 年 3 月 31 日まで）（登録期間：平成 28 年 3 月 31 日まで）

【変更申請する理由】

本先進医療の対象になる患者数は全国で年間 10—20 例の発症数と推定される。新生児・乳児の超希少疾患かつ緊急性を有する疾患で、長距離の移動が困難と考えられるため、日本小児内分泌学会の主導で協力医療機関を全国に配置して症例数の確保を行う計画である。本先進医療の承認が平成 26 年 1 月 1 日となり、その時点から協力医療機関の倫理委申請、先進医療申請に入ったため、手続きに多くの時間を費やしてきた。徐々に増加しているが、参加表明 67 施設に対し、現時点で下記 19 施設が承認されるにとどまっている。特に当初の 4 か月は大阪市立総合医療センターを含めて 2 施設の状態が続き症例登録が進まなかった。8 月までに 2 例の登録でいずれも大阪市立総合医療センターであったが、以後施設数増加に伴って登録が増加し、本申請時点で目標 5 例のところ 4 例登録となっている。現在も協力医療機関の増加に努めているが、症例の希少性もあって平成 27 年 3 月までに目標数に到達できる確実な目途が立たないため、1 年間の延長を申請するものである。

【試験実施計画の変更承認状況】

2014年12月4日に大阪市立総合医療センター臨床研究倫理委員会にて承認済である。

以 上