

- b) 「7. 観察・検査・評価項目およびスケジュール」で規定した、観察・検査・評価及びスケジュールを違反した被験者.
- c) 「11. 被験者ごとの研究中止基準と手順」で規定した項目に該当しない中止例, 又はこの項目に該当するにもかかわらず中止しなかった被験者.

### 13. 目標症例数と研究期間

#### 13.1. 目標症例数

DCM 症例 5 例及び ICM 症例 5 例とする.

#### 13.2. 研究期間

登録期間を 2 年, 追跡期間を被験者ごとに培養骨格筋筋芽細胞シート移植術後 24 週又は研究の中止までとする. したがって, 研究期間は登録開始から最終登録症例の追跡終了又は研究の中止までとなる.

### 14. 統計的考察

#### 14.1. 目標症例数の設定根拠

我が国における DCM 及び ICM (急性心筋梗塞) の有病率は, それぞれ人口 10 万に対して 14.0 人<sup>(2,3)</sup>, 40.6 人<sup>(7)</sup>と報告されている. 大阪大学大学院医学部附属病院では, 2007 年において, LVAS 及び心臓移植術以外の外科治療実施数は, DCM 症例で 10 例, ICM 症例で 5 例である. 二次登録される被験者数が上記実施例の約半数と見積もると, 登録期間 2 年間で集積可能な被験者数は, DCM 症例, ICM 症例でおおよそ 5 例程度と予測される.

本研究の主要評価項目は, プロトコル治療の安全性を評価することであり, その効果については副次評価項目としている. それ故, 本研究では, プロトコル治療の効果についての推定精度又は効果の有無の仮説に対する統計的検定に基づく定型的な例数設計の方法論で目標症例数を規定しなかった.

また, 本研究のように複数の仮説の探索を含意する早期の臨床研究に関