

しては、プロトコル治療の安全性及び効果に及ぼす影響要因（患者基礎情報に関する要因，疾患要因，治療に関する要因等）を整理・把握し，臨床試験シミュレーション（Clinical Trial Simulation）に基づいて，本研究で獲得される結果を予測し，後続の第 II 相試験への橋渡しの可能性に関して議論することは有効な一つの方策である．ただし，本研究でのプロトコル治療のヒトでの成績は存在せず，また本研究に関係しそうな海外での注射針による筋芽細胞移植の臨床試験の諸報告では安全性及び効果に及ぼす影響要因に関する統計的考察もなされていないため，後続の第 II 相試験への橋渡しのための Clinical Trial Simulation を実施するのは困難であった．したがって，ここで設定した各疾患に関する症例数 5 例の適切性を，安全性及び効果について小規模のシミュレーションで吟味した．その結果を以下に示す：

安全性の視点：任意の一つの有害事象がプロトコル治療中もしくは追跡中に 1 被験者につき 1 回発現し，有害事象を発現した症例数が二項分布に従うと仮定すると，二次登録された DCM 症例数及び ICM 症例数の合計の水準を 3 例，5 例，10 例，当該有害事象の発現割合のパラメータの値の水準を 1/4，1/3，1/2 と設定したとき，これらの水準の組み合わせに対して，少なくとも 1 症例以上当該有害事象を観測する場合の確率は以下の表 1 で示される．

表 1. 少なくとも 1 症例以上有害事象を観測する確率

二次登録例数	発現割合のパラメータの値		
	1/4	1/3	1/2
3	0.58	0.70	0.86
5	0.76	0.87	0.97
10	0.94	0.98	0.99

ラット心筋梗塞モデル⁽¹⁵⁾，DCM ハムスター⁽¹⁶⁾ならびに，イヌ DCM 様モデルを用いた大動物前臨床研究⁽¹⁷⁾，及び大阪大学医学部附属病院で実施中の LVAS 装着患者に対する筋芽細胞シート移植術の臨床研究では，予期される有害事象である重篤な不整脈は発現しておらず，このような実験又は研究のように有害事象の発現割合が低い場合には，今回の各疾患の目標症例数は有害事象を観測するのに十分な症例数とは言い難い（例えば，表