

1 に示されるように、発現割合のパラメータの値が 1/4 以下であれば、少なくとも 1 症例以上有害事象を観測する確率は 80%を下回る[0.76 以下である]。]

一方で、注射針での移植による臨床試験では 10 例中 4 例に持続性心室頻拍が認められており<sup>(18)</sup> (この理由で、その後の Phase II Study である MAGIC trial\*<sup>(19)</sup>では ICD の装着が実施の要件となった)、発現割合のパラメータの値が 0.4 (= 4/10) と想定すると、このような比較的頻回に観測される有害事象の場合には、今回の各疾患の目標症例数は十分な症例数といえそうである (例えば、表 1 に示されるように、発現割合のパラメータの真値が 1/3 以上であれば、少なくとも 1 症例以上有害事象を観測する確率は 80%を上回る[0.87 以上である])。]

効果の視点：心機能の一つの効果指標として左室駆出率 (Left Ventricular Ejection Fraction; LVEF) を上げることができる。MAGIC trial\*では、高用量筋芽細胞移植群 (26 例) および低用量筋芽細胞移植群 (27 例)における 6 カ月の時点での LVEF のベースラインからの差の中央値 [四分位範囲] は、それぞれ、5.2 [-4.4; 11.0]および 3.4 [-0.3; 12.4]と報告されている。

ここで上記の成績を参考にして、本研究における各疾患の症例 5 例全員がプロトコル治療を完遂し、6 カ月まで LVEF を追跡できたと仮定し、対応のある t 検定において両側有意水準 0.05 で帰無仮説「6 カ月の時点とベースラインの時点での LVEF に差がない」に対して対立仮説「6 カ月の時点とベースラインの時点での LVEF に差が  $\Delta$ [%]である」( $\Delta$ の値の水準は 3, 5, 7, 9, 11, 13 とし、 $\Delta$ の標準偏差の値の水準は 3, 5, 10 とした) を検出する確率 (検出力) を計算した。その結果を表 2 に示す：

表 2. 検出力

$\Delta$ の 標準偏差	$\Delta$					
	3	5	7	9	11	13
3	0.40	0.79	0.96	0.99	0.99	0.99
5	0.18	0.40	0.65	0.84	0.94	0.98
10	0.08	0.14	0.22	0.33	0.46	0.59

表 2 に示されるように、注射針による筋芽細胞移植の LVEF の改善よりも大きく ( $\Delta$ が 7 あるいは 9 以上)、 $\Delta$ の標準偏差が小さい ( $\Delta$ の標準偏差