

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】

独立行政法人国立病院機構 大阪刀根山医療センター

【先進医療告示番号と名称】

大臣告示番号 B27

TRPV2 阻害薬経口投与療法

【適応症】

心不全（十三歳以上の患者に係るものであって、筋ジストロフィーによるものに限る。）

【試験の概要】

筋ジストロフィー (muscular dystrophy: MD) 患者で標準的心筋保護治療を受けているにもかかわらず brain natriuretic peptide (BNP) 100pg/mL 以上を示す心不全患者に対し、トラニラストを併用することで BNP 低下や心機能改善、心イベント減少などの効果が見られるか、安全性に問題が無いか非盲検単群試験で評価する。

【医薬品・医療機器情報】

医療機器名 または品目	製造販売業者名及 び連絡先	型式または規格	医薬品療機器法承 認又は認証番号	医薬品療機器 法上の適応外 使用の該当
リザベンカ プセル 100mg	キッセイ薬品工業 株式会社 Tel:0120-007-622	1 カプセル中 日 局トラニラスト 100mg	21600AMZ00624000	適応外
リザベン細 粒 10%	同上	1g 中 日局トラ ニラスト 100mg	21700AMX00146000	適応外
リザベンド ライシロッ プ 5%	同上	1g 中 日局トラ ニラスト 50mg	21800AMX10265000	適応外

【実施期間】

研究実施期間：2018年2月～2023年3月

被験者登録期間：～2020年6月

【予定症例数】

20 症例

【現在の登録状況】

18 症例（2022年8月22日現在、登録完了）

【主な変更内容】

1. 新たな安全性情報の追記
2. 記載整備、研究費よりの負担額の更新

【変更申請する理由】

本試験の28週までのデータによる主たる解析で得られた安全性情報の追記のため。

Primary endpointであるlog(BNP)変化量について、FASにおいて以前実施したcarvedilol臨床研究データをもとにした帰無仮説（log(BNP)変化量の母平均が0.18である）を棄却できなかった。また、既報告の副作用である1例で下痢の反復による入院を要した患者が存在した。

一方で、PPSにおいては帰無仮説を棄却しており、現在に至るまで感染症（肺炎）での死亡1例はあるものの、心不全死亡例は出ていない。一定の心機能増悪予防効果や心イベント減少効果の可能性も認められる。すでに試験に組み込まれている患者さんの中で治療継続を希望されている患者さんに対し、試験治療を継続しデータ収集の継続も可能であるが、継続に当たって現時点で明らかな有効性は認めていないこと、下痢など有害事象に注意して観察する必要があることなど、死亡例発生を含めた安全性に関する情報や経過を試験実施計画書、同意説明文書に追記し、同意確認を行うため該当資料を改訂する。

【試験実施計画の変更承認状況】

試験実施計画書、同意説明文書、アセント文書の改訂について、2022年8月18日に、国立病院機構名古屋医療センター臨床研究審査委員会審議にて承認された。

以上