

先天性高インスリン血症に対するオクトレオチド持続皮下注射療法（先進医療 B）へのご参加のお願い

先天性高インスリン血症は、新生児持続性低血糖症の最も多い原因です。ジアゾキサイド不応性の重症例には従来膵垂全摘が行われてきましたが、多くは治癒しないか、術後糖尿病を発症してきました。近年、膵局所型の本症の存在が知られ、一部症例では膵部分切除で治癒することができるようになりましたが、部分切除困難な症例が多く存在します。一方、ジアゾキサイド不応性の本症に対して、オクトレオチド（サンドスタチン）皮下注射が有効であることが知られ、持続皮下注射を長期に行うことで多くの症例が手術を回避できることが明らかになっていますが、現在保険適用がなく、高額な負担が強いられています。

本先進医療は、日本小児内分泌学会が主体となってオクトレチドの本症に対する保険適用を目指すものです。平成 27 年 3 月末までに全国で 5 例のエントリーを行う予定で、先進医療の患者負担分は厚生労働省難治性疾患克服研究事業によって負担されます（SCORCH スタディ：研究事務局 大阪市立総合医療センター小児代謝・内分泌内科）。また、必要な薬剤や持続皮下注射ポンプ、持続血糖測定装置のほか、現在約 26 万円がかかる局所性病変診断のための遺伝子検査、18F-DOPA PET の費用も研究事業より負担されます。

対象症例は、ジアゾキサイド不応性の生後 2 週～1 歳未満の先天性高インスリン血症で、オクトレオチド持続皮下注射療法を行い、開始後 1 年までの経過を観察するものです。対象となり得る症例は国内で年間 10-20 例前後と見込まれ、患者発生の可能性がある中核施設に一施設でも多く協力研究施設登録をお願いし、もし実際に患者さんが発生した場合には、研究事務局を通じて先進医療を行っていただくという方法で、期間内に保険承認に必要な症例数を確保したいと考えています（症例数に関しては医薬品医療機器総合機構での対面助言を受けています）。各施設において臨床研究倫理委承認の手続きを取っていただき、先進医療協力研究施設申請書類をご作成頂ければ、実際の申請は研究事務局で代行いたします。

個々の施設にとっては、実際に期間内に患者さんが生じない可能性が高いのに、倫理委申請をお願いするのは大変恐縮ですが、新生児・乳児の超稀少疾患に対する新規医療は、個別の施設で独自に行わずにクリニカルトライアルの形式で行わないと保険適用に至るのは困難です。患児のより良い予後の達成のためにご協力いただければ幸いです。

研究の詳細は、研究事務局（scorch-study@hospital.city.osaka.jp）までメールでご連絡いただくか、UMIN 臨床研究登録サイト（<http://www.umin.ac.jp/ctr/index-j.htm>）、疾患ホームページ（<http://www001.upp.so-net.ne.jp/chi/>）の SCORCH スタディページでも概要情報を公開しています。

ご高配のほど、よろしくお願い申し上げます。

研究代表者

依藤 亨（大阪市立総合医療センター小児代謝・内分泌内科）

分担研究者

横谷 進（国立成育医療研究センター生体防御系内科部）

緒方 勤（浜松医科大学小児科）

有阪 治（獨協医科大学小児科）

長谷川行洋（都立小児総合医療センター内分泌代謝科）

増江道哉（木沢記念病院小児科）

西堀弘記（木沢記念病院放射線科）

アドバイザーボード

楠田 聡（東京女子医科大学母子総合医療センター）