MILES試験について

MILES試験とは

■リンパ脈管筋腫症（LAM）の治療にシロリムスが効くかどうか、また、安全かどうかを調べるために行われる臨床試験です。

■アメリカ、カナダ、日本が参加する国際共同臨床試験です。

■米国国立衛生研究所（NIH）の研究として、米国シンシナティー大学フランク・マコーマック教授が研究責任者として実施します。

■日本での臨床研究は新潟大学医歯学総合病院（中田光生命科学医療センター教授）と国立病院機構近畿中央胸部疾患センター（井上義一　呼吸不全・難治性肺疾患研究部長）で行われます。

■登録いただいたボランティアの患者さまに1年間シロリムス（試験薬）かプラセボ（※1）を服薬していただき、その後1年間経過を観察します。

試験に参加を希望され、また後述の基準を満たしていれば、登録可能です。登録後、試験薬を服用するかプラセボを服用するかが無作為に決まりますが、どちらを服用しているかは患者さまご本人はもちろん、医療関係者にも知らされません（※2）。

ただし、途中で中間解析が実施され、世界中で100症例（50人のシロリムス服用者と50人のプラセボ服用者）が1年間服用を終えた時点で試験薬を服用した人とプラセボを服用した人の肺機能（1秒量）を比較し、試験薬（シロリムス）に明らかに効果があれば、その時点で誰がシロリムスを服用し、誰がプラセボを服用しているかを明らかにします。その後、参加した全員が12ヵ月間のシロリムス投与をうけられます。

この「MILES試験」はあくまで「臨床試験」であり、「治療」とは異なるものです。仮にプラセボを服薬いただいた場合は、積極的な治療とは言えません。この試験の最終的な目的は患者さまを助けることにありますが、直接的には「シロリムスの有効性と安全性を証明するためのもの」です。したがって、この臨床試験は患者さまのボランティア精神の上に成り立つものです。同じ病気で苦しんでいる患者さまに、より早く新しい治療法を提供するためにぜひご協力ください。

※1……プラセボとは、試験薬と色や形は似ていながらも、有効成分は含まない偽薬のことです。試験薬と薬効や安全性などのデータを比較するために用いられるものです。

※2……この試験では、試験薬を飲んでいるのか、プラセボを飲んでいるのか、臨床試験に参加した方も医師も分からない「二重盲検比較試験」を採用します。医師が「この患者さんはプラセボだ」と知っていることで心理的なものが影響するのを防ぎ、正確なデータを取るためです。

MILES試験の進め方

募集期間……2007年1月～2009年2月まで
試験期間……2010年2月28日まで

患者さまは通常は普段のかかりつけのお医者さんに通院していただきます。試験期間の2年間のうち、原則8回、新潟大学または近畿中央胸部疾患センターに来院していただくことになります。新潟大学と近畿中央胸部疾患センターは患者さまのかかりつけのお医者さんと密接に連絡を取ります。もちろん、患者さまご本人とも連絡を取ります。何かがあったら、かかりつけのお医者さんと連絡を取って、薬の服用を中止したり、薬を減量したり、あるいは対症療法をお願いします。

※本試験に入る前に一度ご来院いただき、説明を受けることをおすすめします。

■臨床試験としての8回の来院の内訳

1回目	同意説明の後、検査 ○1日目／新潟大学病院か近畿中央胸部疾患センターに2泊3日で入院をお願いします。 ○2日目／検査の続きです。この後服薬を開始します。検査が終わったら翌日に退院です。 （2回目以降は原則外来となります。）
2回目	3週間後　診察、検査
3回目	3ヶ月後　診察、検査
4回目	6ヶ月後　診察、検査
5回目	9ヶ月後　診察、検査
6回目	12ヶ月後　診察、検査、試験薬服用の終了
7回目	18ヶ月後　後観察のため来院、診察、検査
8回目	24ヶ月後　後観察のため来院、検査、試験終了

有害事象と副作用について

○定期的に血液中のシロリムスの濃度と肝臓や腎臓、肺の機能を調べ、副作用には万全の注意を払います。

○MILES試験に参加している医師、臨床試験のモニター、アメリカにあるデータ安全性モニタリング機構、アメリカ食品医薬品局が絶えず副作用に注目しており、副作用が出て危険だと判断すると直ちに臨床試験を中止させます。

○患者さまはいつでもこの臨床試験を中止することができます。

○臨床試験の責任医師はいつでも患者さまの安全のために、検査と診察を中止することができます。

参加資格・費用について

参加可能な患者さま

❶18歳以上の女性の方

❷同意書にご署名いただくことができる方

❸病理診断でLAMと診断されているか、結節性硬化症の方や腹部の血管筋脂肪腫、乳糜胸水のある患者様の場合はLAMに一致する胸部CT所見のある方

❹来院された時に実施させていただく呼吸機能検査で、気管支拡張剤投与後の1秒量が予測値の70%以下である方

［上記を満たしていても、下記に該当する場合はご参加いただけません］

a. アテローム性動脈硬化症にともなう心筋梗塞、狭心症または脳卒中の既往がある方
b. 妊娠または授乳中、あるいは2年以内に妊娠する予定の方
c. 避妊を確実にできない方
d. 重大な血液異常または肝機能異常のある方
e. シロリムス投与開始時の感染合併のある方
f. シロリムス投与開始2ヶ月以内の手術（体腔内への侵襲または縫合を要する手術。生検を含む。）をした方
g. 過去30日以内の臨床試験薬を使用した方
h. コントロールされていない高脂血症の方
i. 過去の肺移植歴あるいは肺移植待機リストにアクティブに登録されている方*
j. 予定来院不可の方
k. インフォームド・コンセント不可の方
l. 肺機能検査実施の不可の方
m. クレアチニン2.5mg/dL超の方
n. 横隔膜機能に影響する乳び性胸水のある方
o. 肺機能に影響する胸水（臨床試験実施施設の臨床試験責任医師の意見に基づく）（一般に500cc超）のある方
p. 過去2ヶ月以内の急性気胸の方
q. 過去2年間の癌既往歴。ただし皮膚の扁平上皮癌または基底細胞癌を除く。
r. エストロゲン含有薬剤を服用の方
s. シロリムスにアレルギーがある方

* 待機inactive制度(注)を利用している場合を除く。
(注) 待機inactive制度移植希望者（レシピエント）の容態が落ち着いており、当座の間、移植を受ける意思がない場合に、(社)日本臓器移植ネットワークにその旨を事前に報告しておき、一時的に臓器あっせんの対象から除外する制度。なお、「待機inactive制度」を利用している期間も、移植希望者（レシピエント）の待機期間の対象となります。必ず移植担当の先生とご相談下さい。

費用について・検査と診察費について

■検査と診察費について

新潟大学では、通常の保険診察の3割自己負担分（新潟大学の試算では2年間の総額は85,000円ほど）はいったん患者さまに立て替えていただきますが、後ほど患者さまの口座に返還されます。

近畿中央胸部疾患センターでは、本臨床研究に関する費用は病院が直接負担する予定で調整中です。

■受診にかかる交通費について

8回の来院のための交通費は患者さま側でいったん立て替えていただき、後ほど患者さまへ返還させていただきます。