

治験の実施に関する研究[PDT半導体レーザー・タラポルフィリンナトリウム]

所 属 東京女子医科大学病院

研究者 丸山 隆志

研究期間 2011/04/01～2012/03/31

研究分担者

東京女子医科大学 先端生命医科学研究所 村垣善浩
東京女子医科大学 脳神経外科 田中雅彦

要旨

悪性脳腫瘍患者に対するPhotodynamic therapy (以下PDT)用光感受性物質 (ME2906) 及びPDT半導体レーザー装置 (PNL6405CNS) を用いた光線力学的療法の有効性及び安全性を検討する医師主導治験を行い、悪性脳腫瘍の予後改善をもたらす新規な治療法の確立と承認取得を目指す。

1. 目的

悪性脳腫瘍患者に対するME2906及びPDT半導体レーザーを用いた光線力学的療法の有効性及び安全性の治験申請・承認のためのプロトコールをもとに臨床試験を実施する。

2. 方法 (1) 治験実施計画スケジュールに基づく各種業務

- ・ 治験実施計画に基づく検査・診察 (安全性・有効性の確認)
- ・ その他、治験実施計画書に規定される各種業務

(2) 有害事象等の安全性情報を入手した場合の報告

- ・ 病院長経由しての治験審査委員会への報告
- ・ FAXサーバシステムを利用した治験調整医師及び他施設治験責任医師への報告

(3) 治験実施計画書等の改訂について、病院長経由での治験審査委員会への変更申請

(4) 症例報告書の作成

(5) 直接閲覧の受け入れ

(6) 治験中止時の対応

(7) 治験関連書類の保管

3. 結果

平成21年3月21日の治験開始後、これまで計19例の初発神経膠芽腫が疑われる症例に対して本治平成23年1月27日で19例のエントリーを行った。解析の対象とする初発GradeIV (GBM:glioblastoma multiforme)症例は、11例であった。

4. 考察

医師主導治験の有効性結果は標準治療成績を大きく上回る非常に優れた成績であり、安全性も許容範囲内であった。標準治療への本治療法の上乗せ効果は明らかなことから、悪性脳腫瘍に対する本治療法の位置付けを明確に出来たものと考ええる。また、リスクベネフィットの観点からも有用な治療法と考える。

5. 結論

平成23年1月27日で19例のエントリーを行った。平成24年2月末で、エントリーされた被験者の1年間の追跡調査を完了した。PMDA医薬品事前面談 (H23年12月19日・H24年1月30日)の実施。PMDA申請前相談 (3月26日予定)。

6. 研究発表

特記事項なし。

7. その他

特記事項なし。

頭蓋内動脈狭窄性病変治療用ステント
総括研究報告書

頭蓋内動脈狭窄性病変治療用ステントの安全性と有効性に関する研究

所 属 地方独立行政法人神戸市民病院機構
神戸市立医療センター中央市民病院
研究者 坂井 信幸
研究期間 平成 23 年 4 月～平成 24 年 3 月

研究分担者

名古屋大学医学部附属病院 脳神経外科 准教授 宮地 茂

研究要旨

薬物療法に治療抵抗性を示し、治験機器(WS-01)が到達可能な狭窄度 50%以上の頭蓋内動脈狭窄性病変に起因する一過性脳虚血発作又は脳卒中患者を対象とした脳動脈ステントシステムの安全性と性能を評価することを目的とし、薬事法、「医療機器の臨床試験の実施の基準に関する省令（改正 GCP 省令）」ならびに関連法規制に即した院内体制ならびに必須文書の整備を行った上で、頭蓋内動脈狭窄性病変治療用ステントの医師主導治験（プロトコル No.WS-01RT）を多施設共同単一群試験として実施した。治験より得たデータに基づき、統計解析、治験総括報告書の作成を行った。

1.目的

薬物療法に治療抵抗性を示し、本治験機器が到達可能な狭窄度 50%以上の頭蓋内動脈狭窄性病変に起因する一過性脳虚血発作又は脳卒中患者を対象とした脳動脈ステントシステムの安全性と性能を評価する。また、その評価結果に基づき、治験総括報告書を作成する。

2.方法

昨年度までに予定の 20 例の本登録を完了しており、今年度は本登録した症例の経過観察と解析計画書に基づいた統計解析を行った。また、監査計画に基づき、監査を実施した。解析より得た結果で、総括報告書を作成し、治験機器提供者であり承認申請者である日本ストライカー社に総括報告書を提供した。

3.結果

本登録した 20 例の収集した症例報告書のデータについて、安全性評価委員会による確認を行った上で、治験調整委員会において症例検討会を実施した。治験機器留置前に重篤な有害事象が発生し治験を中止した症例のみ、FAS 及び PPS 除外となったものの、それ以外の症例については全て採用となった。安全性情報については、経過観察中においても治験実施医療機関での重篤な有害事象は発生しなかった。また、本治験機器に関連して発生した外国における「治験機器不具合・感染症報告」は、前年度同様毎月 1 回行った。医薬品医療機器総合機構への終了届は平成 23 年 7 月に提出した。

データのとりまとめとして、昨年度より治験調整医師、解析アドバイザー、その他関係者の協力を得て検討した解析計画書の作成を完成させ、本解析計画書に基づき、統計解析を行った。これにより得た解析結果に基づき、治験総括報告書の作成を行った。また、8 月には治験終了時の治験調整事務局及び実施医療機関（2 施設）の監査を実施し、10 月には総括報告書の監査を実施した。特に指摘事項はなく、薬事法、GCP 等の関連法規を遵守し適切に治験が実施されたことが確認された。

4.考察

治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者の協力により、医療機器の医師

主導治験で収集したデータのとりまとめを行い、本研究の最終目的である総括報告書の完成まで至った。

5.結論

頭蓋内動脈狭窄性病変治療用ステントの安全性と有効性を確認することができた。今回の研究事業で整備された医師主導治験の基盤は、本治験の実施に限らず、今後行う医師主導治験を実施する上で大いに役立つことが期待される。

6.研究発表

なし

7.その他

なし

治験の実施に関する研究〔頭蓋内動脈狭窄性病変治療用ステント〕

所 属 地方独立行政法人神戸市民病院機構
神戸市立医療センター中央市民病院
研究者 坂井 信幸
研究期間 平成 23 年 4 月～平成 24 年 3 月

研究分担者

足立 秀光（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、医長）
上野 泰（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、医長）
坂井 千秋（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、医師）
今村 博敏（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、副医長）
石川 達也（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、副医長）
蔵本 要二（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、副医長）
今堀 太一郎（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、医師）
重松 朋芳（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、医師）
千原 英夫（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、医師）
篠田 成英（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、医師）
松田 佳子（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、医師）
山上 宏（神戸市立医療センター中央市民病院、脳神経外科、医長）
藤堂 謙一（神戸市立医療センター中央市民病院、神経内科、副医長）
山本 司郎（神戸市立医療センター中央市民病院、神経内科、副医長）

研究要旨

薬物療法に治療抵抗性を示し、治験機器(WS-01)が到達可能な狭窄度50%以上の頭蓋内動脈狭窄性病変に起因する一過性脳虚血発作又は脳卒中患者を対象とした脳動脈ステントシステムの安全性と性能を評価することを目的とした医師主導治験を実施した。すでに昨年度で本院目標例数の10例の本登録は完了し、本年度は6カ月後経過観察が残った1例の経過観察を完了し、全症例データのとりまとめを行い、総括報告書の作成を行った。

1.目的

薬物療法に治療抵抗性を示し、本治験機器が到達可能な狭窄度50%以上の頭蓋内動脈狭窄性病変に起因する一過性脳虚血発作又は脳卒中患者を対象とした脳動脈ステントシステムの安全性と性能を評価するため、WS-01医師主導治験を実施する。

2.方法

昨年度までに本院目標症例数の10例の本登録、9例の6カ月経過観察を完了しており、今年度は本登録した症例の残り1例の経過観察を行い、症例報告書を作成した。また、監査計画に基づき、監査を実施した。データのとりまとめとして、解析より得た結果で総括報告書を作成した。

3.結果

本登録した10例の症例報告書の作成を行い、そのデータに基づき症例検討会を実施した。本院登録の症例については重大な逸脱等はなく、全て採用となった。今年度の安全性情報については、経過観察中においても治験実施医療機関での重篤な有害事象は発生しなかった。また、本治験機器に関連して発生した外国における「治験機器不具合・感染症報告」は、前年度同様毎月1回行った。

また、8月には治験終了時の監査を実施し、特に指摘事項はなく、薬事法、GCP等の関連法規を遵守し適切に治験が実施されたことが確認された。データのとりまとめとしては、治験調整委員会で実施された統計解析の結果に基づき、治験総括報告書の作成を行った。

4.考察

治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者の協力により、医療機器の医師主導治験で収集したデータのとりまとめを行い、本研究の最終目的である総括報告書の完成まで至った。

5.結論

頭蓋内動脈狭窄性病変治療用ステントの安全性と有効性を確認することができた。今回の研究事業で整備された医師主導治験の基盤は、本治験の実施に限らず、今後行う医師主導治験を実施する上で大いに役立つことが期待される。

6.研究発表

なし

7.その他

なし

治験の実施に関する研究[頭蓋内動脈狭窄性病変治療用 ステント]

所 属 名古屋大学医学部附属病院

研究者 宮地 茂

研究期間 2011/04/01～2012/03/31

研究分担者

泉 孝嗣 (名古屋大学医学部附属病院助教)

研究要旨：頭蓋内動脈狭窄性病変に起因する一過性脳虚血発作又は脳卒中患者における脳動脈ステントシステム(WS-01)の安全性及び性能を評価する

目的：頭蓋内動脈狭窄を有し脳卒中又は一過性脳虚血発作の再発の可能性がある患者には、血栓塞栓事象の予防目的として、アスピリン、クロピドグレル硫酸塩製剤(以下、クロピドグレル)、チクロピジン塩酸塩製剤(以下、チクロピジン)、シロスタゾール製剤(以下、シロスタゾール)、ヘパリン及びワルファリンカリウム(以下、ワルファリン)を単独投与又は併用投与する抗血栓療法が標準治療となっている。一方、抗血栓療法を受けている症候性頭蓋内アテローム性動脈硬化症患者において、脳卒中又は一過性脳虚血発作の再発率は50%以上との報告もある。本邦において、脳卒中又は一過性脳虚血発作の再発に対して満足できる有効な治療方法がないことから、本治験機器を用いた本治験を実施した。

薬物療法に治療抵抗性を示し、本治験機器が到達可能な狭窄率50%以上の頭蓋内動脈狭窄性病変に起因する一過性脳虚血発作又は脳卒中患者を対象に、脳動脈ステントシステムの安全性と性能を評価することが目的である。

方法：名古屋大学では、薬物療法に治療抵抗性を示し、本治験機器が到達可能な狭窄率50%以上の頭蓋内動脈狭窄性病変に起因する一過性脳虚血発作又は脳卒中患者13例について仮登録を行い、実施を考慮したが、3例が登録不適格例とされた。また、1例は本治験の手技中に発生した有害事象により本治験機器のステント留置前に中止となった。プロトコール通りに治験が実施された9例について1年間追跡フォローを行った。

結果：9例全例において、治験機器に伴う新たな有害事象は認めなかった。また画像上、MRIで治験機器に関連するあらたな虚血巣を認めなかった。6ヶ月後の血管撮影においてわずかに再狭窄を認めた2例はその後臨床症状において特に虚血症状の発生は認められていない。また、治験機器の移動などの不具合、留置血管および分枝の閉塞は認めず、全例良好な血管の開存、拡張の維持が確認された。また血液検査においても、治験機器に関する異常は認められなかった。また、治験機器留置後に神経症状を呈した一例については、経過観察において著明な症状の軽快を認めている。

考察：このステントシステムでは、留置時のアプローチ、バルーン拡張に伴う合併症は認められたものの、その後のフォローアップにおいて極めて安定した臨床経過が得られており、デバイスとしての安全性は高い。ただし、やや控えめな拡張に終わった例において再狭窄が認められることから、今後検討すべき仮題と考えられる。

結論：本治験機器のステント留置後の経過観察において、有害事象を新たに認めた例はなく、留置血管の開存も良好であった。薬物療法に治療抵抗性を示す頭蓋内動脈狭窄性病変に起因する一過性脳虚血発作又は脳卒中患者に対して、使用機器の取り扱い及び手技に関する安全性確保の対策並びに十分な抗血栓療法を行うことで、本治験機器のステントシステムは治療後のフォローアップにおいても安全で有効な機器であると考えられる。

研究発表：なし

その他：特になし

サリドマイド
総括研究報告書

Crow-Fukase症候群に対するサリドマイドの多施設共同、ランダム化、プラセボ対照、二重盲検、並行群間比較試験及び長期安全性試験

所属 千葉大学医学部附属病院

研究者 桑原 聡

研究期間 2011/04/01～2012/03/31

研究分担者

千葉大学医学部附属病院神経内科・助教 三澤 園子
千葉大学医学部附属病院臨床試験部・講師 花岡 英紀
千葉大学医学部附属病院看護部・副看護部長 金澤 薫
千葉大学大学院医学研究院病態制御治療学・教授 中谷 晴昭

研究要旨

Crow-Fukase症候群は多発性骨髄腫の類縁疾患であり、形質細胞腫に伴い多発ニューロパチー、臓器腫大、内分泌異常、M蛋白 (monoclonal gammopathy)、色素沈着、剛毛、浮腫などの特異な臨床症状を呈する疾患である。今回、Crow-Fukase症候群に対し、副腎皮質ステロイド製剤 (デキサメタゾン) をベース治療として導入し、サリドマイド群及びプラセボ群の多施設共同のランダム化並行群間二重盲検比較試験によりサリドマイドの有効性及び安全性を評価する研究、並びにサリドマイドを長期投与した場合の安全性及び有効性を評価する研究を医師主導治験として開始した。平成23年度は同意取得8例、登録7例、中止4例があった。なお、重篤な有害事象は8件発生し、4件軽快、2件未回復、2件死亡した。因果関係の否定できない未知の有害事象1件について当局報告を行った。また、重大な逸脱は1件発生し調整医師より当該施設に注意喚起を行った。

1. 目的

Crow-Fukase症候群は形質細胞異常に伴い多発ニューロパチー、臓器腫大、内分泌異常、M蛋白 (monoclonal gammopathy)、色素沈着、剛毛、浮腫などの特異な臨床症状を呈する疾患である。国際的には、サリドマイド、移植療法をはじめとする新規治療が応用され予後が改善しつつある。しかし、日本国内では本症候群に対するサリドマイド療法の保険適応はなく、現時点で選択肢となる治療が非常に限定されている。本治験は本症候群へのサリドマイドの適応拡大を目的とした多施設共同試験である。

2. 方法

【第II/III相試験概要】 Crow-Fukase症候群患者を対象とし、6ヶ月のランダム比較試験及び12ヶ月の長期オープン試験を行い、本症候群におけるPPF300の有効性及び安全性を検討する。ランダム期は、患者はPPF300投与群とプラセボ群の2群に割付け、オープン試験期は全例にPPF300を投与する。参加医療機関は12施設、目標症例数は24例、治験期間は2010年9月1日～2015年8月31日を予定している。

【継続投与試験概要】

先行する第II/III相試験を終了した患者を対象とし、治験薬サリドマイドのCrow-Fukase症候群患者に対する適応承認取得までPPF300の服用機会を提供する。また、PPF300の長期投与による安全性及び有効性についても検討する。

3. 結果

(1) 治験開始後

1) 症例集積

今年度は同意取得8例 (北海道医療センター1例、千葉大学医学部附属病院7例)、登録7例 (北海道大学病院1例、千葉大学医学部附属病院6例)があった。重篤な有害事象は8件発生し、4件軽快、2件未回復、2件死亡した。また、重大な逸脱は1件発生し調整医師より当該施設へ注意喚起を行った。

2) 計画書改訂

以下、2回の改訂を行った。

- ① 治験実施計画書2.2版 (2011年4月1日) : 除外基準、誤記修正、併用禁止薬及び併用禁止療法の明確化
- ② 治験実施計画書2.3版 (2011年8月1日) : 治験薬投与に関することの限定、亜急性増悪起点明確化、体重増加に関する記載整備、長期オープン試験期におけるデキサメタゾンの剤型指定削除、デキサメタゾン算出基準の明確化、早期移行基準該当例に対する対応の明確化、妊娠検査実施場所の明確化、同意取得手順の明確化、VEGF検査の明確化、遵守状況確認手順の明確化
- ③ 治験実施計画書補遺1.1版 (2011年8月30日) : 血中濃度測定ポイントの追記 (千葉大学のみ)

3) 監査

平成23年1月および8月に調整医師業務監査、11月 (北海道大学病院)、12月 (千葉大学医学部附属病院) には施設監査を受け、いずれにおいても重大な問題はなかった。

4) 治験変更届

治験計画変更届を平成23年8月12日に提出した (神戸市立医療センター中央市民病院の住所変更、治験責任医師の職名変更、治験分担医師の追加及び削除、千葉大学医学部附属病院の症例数追加)。同じく治験計画変更届を平成24年2月10日に提出した (治験分担医師の追加及び削除、千葉大学医学部附属病院の症例数追加)。また、平成24年2月10日にCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するPPF300 (サリドマイド) の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験を終了した患者を対象としたCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するPPF300 (サリドマイド) の継続投与試験の治験計画届を医薬品医療機器総合機構に提出した。

4. 考察

今年度は治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者の協力により、7例の症例を登録できた。重篤な有害事象は8件発生し、4件軽快、2件未回復、2件死亡した。因果関係の否定できない未知の有害事象1件について当局報告を行った。また、重大な逸脱は1件発生し調整医師より当該施設へ注意喚起を行った。安全性に留意し、適応承認取得を目指し今後も医師主導治験を実施していく必要がある。本症候群は稀少

疾病であり、症例確保に向け参加全施設の協力体制の下、学術誌やインターネットを介した症例募集の継続が必要と考える。

5. 結論

本症候群へのサリドマイドの適応拡大を目的とした多施設共同試験の2年度目であり、24例中累積10例の登録があった。今後も医師主導治験を継続し試験の完遂を目指す。

6. 研究発表

- 1: Nasu S, Misawa S, Sekiguchi Y, Shibuya K, Kanai K, Fujimaki Y, Ohmori S, Mitsuma S, Koga S, Kuwabara S. Different neurological and physiological profiles in POEMS syndrome and chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy. *J Neurol Neurosurg Psychiatry*. 2012 (in press)
- 2: Shimizu N, Nakaseko C, Sakaida E, Ohwada C, Takeuchi M, Kawaguchi T, Tsukamoto S, Sakai S, Takeda Y, Abe D, Yokote K, Iseki T, Kanai K, Misawa S, Kuwabara S. Factors associated with the efficiency of PBSC collection in POEMS syndrome patients undergoing autologous PBSC transplantation. *Bone Marrow Transplant*. 2012 (in press)
- 3: Shibuya K, Misawa S, Horikoshi T, Kanai K, Iose S, Nasu S, Sekiguchi Y, Noto Y, Fujimaki Y, Nakaseko C, Kuwabara S. Detection of bone lesions by CT in POEMS syndrome. *Intern Med*. 2011;50(13):1393-6.
- 4: Iose S, Misawa S, Kanai K, Shibuya K, Sekiguchi Y, Nasu S, Fujimaki Y, Noto Y, Nakaseko C, Kuwabara S. POEMS syndrome with Guillan-Barre syndrome-like acute onset: a case report and review of neurological progression in 30 cases. *J Neurol Neurosurg Psychiatry*. 2011;82(6):678-80.

7. その他

なし

治験の実施に関する研究[サリドマイド]

所 属 独立行政法人国立病院機構 北海道医療センター

研究者 菊地 誠志

研究期間 2011/04/01～2012/03/31

研究分担者

新野 正明：北海道医療センター
土井 静樹：北海道医療センター
藤木 直人：北海道医療センター
南 尚哉：北海道医療センター
田代 淳：北海道医療センター

研究要旨

平成22年9月より5年間の予定で開始したCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験である医師主導治験を継続実施している。稀少疾病であるが、精力的に患者リクルートを行った。1例の候補患者がいたが、適格・除外基準に抵触するため、治験参加を断念した。引き続き被験者を募集している。さらに、現行の治験終了後から治験薬の適応追加承認取得までのFPF300の継続提供を目的としたCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300の継続投与試験の治験にむけた準備を進めた。平成23年12月16日に治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書標準業務手順書が当院IRBにて承認され、平成24年2月10日に治験届を医薬品医療機器総合機構に提出した。

1. 目的

Crow-Fukase症候群は形質細胞異常に伴い多発ニューロパチー、臓器腫大、内分泌異常、M蛋白 (monoclonal gammopathy)、色素沈着、剛毛、浮腫などの特異な臨床症状を呈する疾患である。国際的には、サリドマイド、移植療法をはじめとする新規治療が応用され予後が改善しつつある。しかし、日本国内では本症候群に対するサリドマイド療法の保険適応はなく、現時点で選択肢となる治療が非常に限定されている。本症候群へのサリドマイドの適応拡大を目的として多施設共同試験を行う。

2. 方法

【第II/III相試験】

- 1) 試験概要：Crow-Fukase症候群患者を対象とし、6ヶ月のランダム比較試験及び12ヶ月の長期オープン試験を行い、本症候群におけるFPF300の有効性及び安全性を検討する。ランダム期は、患者はFPF300投与群とプラセボ群の2群に割り付けられ、オープン試験期は全例にFPF300の投与が行われる。
- 2) 前年度に引き続き治験を実施する。

【継続投与試験】

- 1) 試験概要：先行する第II/III相試験を終了した患者を対象とし、治験薬のCrow-Fukase症候群患者に対する適応承認取得までFPF300の服用機会を提供する。また、FPF300の長期投与による安全性及び有効性についても検討する。
- 2) 継続投与治験の治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書、標準業務手順書の一式を当院IRBに申請する。

3. 結果

【第II/III相試験】

- 1) 稀少疾病であるが、精力的に患者リクルートを行った。1例の候補患者がいたが、適格・除外基準に抵触するため、治験参加を断念した。引き続き被験者を募集している。
- 2) 治験の実施に際し、薬事法、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令及び関連法規制を遵守した。

4. 考察

治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者の協力により、医師主導治験を実施している。本症候群は稀少疾病であり、症例の確保が今後の最重要課題である。参加全施設の協力体制の下、学術誌、インターネットを介した症例募集の継続が必要である。

5. 結論

Crow-Fukase症候群に対するFPF300の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験を医師主導治験として実施している。またCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の継続投与試験の治験開始に向けた準備を行った。

6. 研究発表

特になし

7. その他

特になし

治験の実施に関する研究[サリドマイド]

所属 北海道大学病院

研究者 矢部 一郎

研究期間 2011/04/01～2012/03/31

研究分担者

北海道大学病院 神経内科 佐々木 秀直

研究要旨

Crow-Fukase症候群患者に対するサリドマイドの有効性及び安全性を評価することを目的とした医師主導治験を遂行するため、院内体制ならびに必須文書の整備を行った。平成22年7月20日に治験審査委員会の承認を得て、治験届を平成22年8月16日に提出した。

1. 目的

Crow-Fukase症候群患者を対象にFPF300[一般名：サリドマイド]投与による有効性について、プラセボを対照とする二重盲検比較試験により評価する。また本剤の安全性について併せて評価する。

2. 方法

本治験の実施にあたっては、薬事法、「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」ならびに関連法規則を遵守する。これらの関係法規に合わせて院内の治験審査委員会などの規定ならびに各種手順書の改訂を行い、医師主導治験を行う院内体制の整備を行った。

また、治験実施計画書、治験薬概要書、症例報告書、同意説明文書など、本治験に関する実施医療機関の長へ提出すべき文書を整え、治験審査委員会の審議を経て、平成22年7月20日に治験審査委員会の承認を得た。本治験は多施設共同治験であり、全実施医療機関での治験審査委員会の承認を確認した上で、医薬品医療機器統合機構に対して治験届を平成22年8月16日に提出し、9月1日に治験が開始された。

並行して治験薬の搬入など治験を実施する体制を整備した。候補患者の精査にあわせて、平成23年2月18日に治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者を集め、院内のキックオフミーティングを開催した。同日2月18日から患者に対する説明同意を取得し、平成23年3月2日より治験を開始した。

3. 結果

治験責任医師および4名の治験分担医師が診察、説明など治験に関わる諸業務を行った。また、本治験専属のCRC1名が、治験センター所属のCRCと共に、説明補助や文書の整備など治験に関する業務にあたった。

計1名のCrow-Fukase症候群患者に対して治験の説明を行い、平成23年2月19日に同意を得たので、平成23年3月2日より治験薬投与を開始し、二重盲検試験を経て、現在長期継続試験を施行中である。特に有害事象はなく経過している。

4. 考察

治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者の協力により、医師主導治験を行うための施設内の整備を行い、平成23年3月2日より治験薬投与を開始した。順調に治験がなされており、有害事象は確認されていない。

5. 結論

各関係者の協力により、医師主導治験を行うための施設内の整備を行い、平成23年3月2日より治験薬投与を開始した。現時点では評価を完遂し、データ固定を行った被験者はないため、サリドマイドの有効性及び安全性について記載できる事項はない。

6. 研究発表

なし

7. その他

なし

治験の実施に関する研究[サリドマイド]

所属 東北大学病院

研究者 中島 一郎

研究期間 2011/04/01～2012/03/31

研究分担者

東北大学大学院医学系研究科 多発性硬化症治療学・教授 藤原一男
東北大学病院 神経内科・助教 豎山 真規

Crow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験である医師主導治験の2年目である。平成22年8月16日に、医薬品医療機器総合機構に治験届を提出し、治験を開始した。稀少疾病のため、現時点では適格患者がなく、被験者を募集中である。

1. 目的

Crow-Fukase症候群は形質細胞異常に伴い多発ニューロパチー、臓器腫大、内分泌異常、M蛋白 (monoclonal gammopathy)、色素沈着、剛毛、浮腫などの特異な臨床症状を呈する疾患である。国際的には、サリドマイド、移植療法をはじめとする新規治療が応用され予後が改善しつつある。しかし、日本国内では本症候群に対するサリドマイド療法の保険適応はなく、現時点で選択肢となる治療が非常に限定されている。本症候群へのサリドマイドの適応拡大を目的として多施設共同試験を施行中である。

2. 方法

- 1) 【治験概要】 Crow-Fukase症候群患者を対象とし、6ヶ月のランダム比較試験及び12ヶ月の長期オープン試験を行い、本症候群におけるFPF300の有効性及び安全性を検討する。ランダム期は、患者はFPF300投与群とプラセボ群の2群に割り付けられ、オープン試験期は全例にFPF300の投与が行われる。
- 2) 治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書、標準業務手順書の一式を当院IRBに申請した。
- 3) 治験の実施体制を整備した。

3. 結果

- 1) 平成22年8月2日に、治験関連書類が当院IRBに承認され、8月16日に医薬品医療機器総合機構に治験届を提出、治験を開始した。
- 2) 稀少疾病のため、現時点では適格患者がなく、被験者を募集中である。
- 3) 施行に際し、薬事法、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令及び関連法規制を遵守した。

4. 考察

治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者の協力により、医師主導治験を遅滞なく開始することができた。本症候群は稀少疾病であり、症例の確保が今後の最重要課題である。参加全施設の協力体制の下、学術誌、インターネットを介した症例募集の継続が必要である。

5. 結論

Crow-Fukase症候群に対するFPF300の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験を医師主導治験として開始した。

6. 研究発表

なし

7. その他

特になし

治験の実施に関する研究 [サリドマイド]

所属 千葉大学医学部附属病院

研究者 桑原 聡

研究期間 2011/04/01～2012/03/31

研究分担者

平野 成樹	神経内科・特任助教
三津間 さつき	神経内科・医員
金井 数明	神経内科・助教
三澤 園子	神経内科・助教
澁谷 和幹	神経内科・医員
那須 彩子	神経内科・医員
関口 縁	神経内科・医員
花岡 英紀	臨床試験部・部長/診療教授 (講師)

研究要旨

平成22年9月より5年間の予定で開始したCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験である医師主導治験を継続実施している。稀少疾病であるが、精力的に患者リクルートを行い、7例に同意を取得し、6例を登録、引き続き被験者を募集している。さらに、現行の治験終了後から治験薬の適応追加承認取得までのFPF300の継続提供を目的としたCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300の継続投与試験の治験にむけた準備を進めた。平成23年12月19日に治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書標準業務手順書が当院IRBにて承認され、平成24年2月10日に治験届を医薬品医療機器総合機構に提出した。

1. 目的

Crow-Fukase症候群は形質細胞異常に伴い多発ニューロパチー、臓器腫大、内分泌異常、M蛋白 (monoclonal gammopathy)、色素沈着、剛毛、浮腫などの特異な臨床症状を呈する疾患である。国際的には、サリドマイド、移植療法をはじめとする新規治療が応用され予後が改善しつつある。しかし、日本国内では本症候群に対するサリドマイド療法の保険適応はなく、現時点で選択肢となる治療が非常に限定されている。本症候群へのサリドマイドの適応拡大を目的として多施設共同試験を行う。

2. 方法

【第II/III相試験】

- 1) 試験概要: Crow-Fukase症候群患者を対象とし、6ヶ月のランダム比較試験及び12ヶ月の長期オープン試験を行い、本症候群におけるFPF300の有効性及び安全性を検討する。ランダム期は、患者はFPF300投与群とプラセボ群の2群に割り付けられ、オープン試験期は全例にFPF300の投与が行われる。
- 2) 前年度に引き続き治験を実施する。

【継続投与試験】

- 1) 試験概要: 先行する第II/III相試験を終了した患者を対象とし、治験薬のCrow-Fukase症候群患者に対する適応承認取得までFPF300の服用機会を提供する。また、FPF300の長期投与による安全性及び有効性についても検討する。
- 2) 継続投与試験の治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書、標準業務手順書の一式を当院IRBに申請する。

3. 結果

【第II/III相試験】

- 1) 稀少疾病であるが、精力的に患者リクルートを行い、7例に同意を取得し、6例を登録した。
- 2) 治験の実施に際し、薬事法、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令及び関連法規制を遵守した

【継続投与試験】

- 2) 平成23年12月19日に、継続投与治験関連書類が当院IRBに承認され、平成24年2月10日に医薬品医療機器総合機構に治験届を提出した。3月より継続治験を開始する見込みである

4. 考察

治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者の協力により、医師主導治験を実施している。本症候群は稀少疾病であり、症例の確保が今後の最重要課題である。参加全施設の協力体制の下、学術誌、インターネットを介した症例募集の継続が必要である。

5. 結論

Crow-Fukase症候群に対するFPF300の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験を医師主導治験として実施している。またCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の継続投与試験の治験開始に向けた準備を行った。

6. 研究発表

- 1: Nasu S, Misawa S, Sekiguchi Y, Shibuya K, Kanai K, Fujimaki Y, Ohmori S, Mitsuma S, Koga S, Kuwabara S. Different neurological and physiological profiles in POEMS syndrome and chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy. J Neurol Neurosurg Psychiatry. 2012 (in press)
- 2: Shimizu N, Nakaseko C, Sakaida E, Ohwada C, Takeuchi M, Kawaguchi T, Tsukamoto S, Sakai S, Takeda Y, Abe D, Yokote K, Iseki T, Kanai K, Misawa S, Kuwabara S. Factors associated with the efficiency of PBSC collection in POEMS syndrome patients undergoing autologous PBSC transplantation. Bone Marrow Transplant. 2012 (in press)
- 3: Shibuya K, Misawa S, Horikoshi T, Kanai K, Iseki S, Nasu S, Sekiguchi Y, Noto Y, Fujimaki Y,

- Nakaseko C, Kuwabara S. Detection of bone lesions by CT in POEMS syndrome. Intern Med. 2011;50(13):1393-6.
- 4: Iose S, Misawa S, Kanai K, Shibuya K, Sekiguchi Y, Nasu S, Fujimaki Y, Noto Y, Nakaseko C, Kuwabara S. POEMS syndrome with Guillan-Barre syndrome-like acute onset: a case report and review of neurological progression in 30 cases. J Neurol Neurosurg Psychiatry. 2011;82(6):678-80.
7. その他
なし

治験の実施に関する研究 [サリドマイド]

所属 新潟大学脳研究所

研究者 西澤 正豊

研究期間 2011/04/01～2012/03/31

研究分担者

新潟大学医歯学総合病院・河内 泉
新潟大学医歯学総合病院・小澤 鉄太郎

研究要旨

平成22年9月より5年間の予定で開始したCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験である医師主導治験を継続実施している。稀少疾病であるが、精力的に患者リクルートを行った。2例の候補患者がいたが、適格・除外基準に抵触するため、治験参加を断念した。引き続き被験者を募集している。さらに、現行の治験終了後から治験薬の適応追加承認取得までのFPF300の継続提供を目的としたCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300の継続投与試験の治験にむけた準備を進めた。平成23年12月19日に治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書標準業務手順書が千葉大学セントラルIRBにて承認され、平成24年2月10日に治験届を医薬品医療機器総合機構に提出した。

1. 目的

Crow-Fukase症候群は形質細胞異常に伴い多発ニューロパチー、臓器腫大、内分泌異常、M蛋白 (monoclonal gammopathy)、色素沈着、剛毛、浮腫などの特異な臨床症状を呈する疾患である。国際的には、サリドマイド、移植療法をはじめとする新規治療が応用され予後が改善しつつある。しかし、日本国内では本症候群に対するサリドマイド療法の保険適応はなく、現時点で選択肢となる治療が非常に限定されている。本症候群へのサリドマイドの適応拡大を目的として多施設共同試験を行う。

2. 方法

【第II/III相試験】

1) 試験概要：Crow-Fukase症候群患者を対象とし、6ヶ月のランダム比較試験及び12ヶ月の長期オープン試験を行い、本症候群におけるFPF300の有効性及び安全性を検討する。ランダム期は、患者はFPF300投与群とプラセボ群の2群に割り付けられ、オープン試験期は全例にFPF300の投与が行われる。

2) 前年度に引き続き治験を実施する。

【継続投与試験】

1) 試験概要：先行する第II/III相試験を終了した患者を対象とし、治験薬のCrow-Fukase症候群患者に対する適応承認取得までFPF300の服用機会を提供する。また、FPF300の長期投与による安全性及び有効性についても検討する。

2) 継続投与試験の治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書、標準業務手順書の一式を当院IRBに申請する。

3. 結果

【第II/III相試験】

1) 稀少疾病であるが、精力的に患者リクルートを行った。2例の候補患者がいたが、適格・除外基準に抵触するため、治験参加を断念した。引き続き被験者を募集している。

2) 治験の実施に際し、薬事法、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令及び関連法規制を遵守した

【継続投与試験】

2) 平成23年12月19日に、継続投与治験関連書類が千葉大学セントラルIRBに承認され、平成24年2月10日に医薬品医療機器総合機構に治験届を提出した。3月より継続治験を開始する見込みである

4. 考察

治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者の協力により、医師主導治験を実施している。本症候群は稀少疾病であり、症例の確保が今後の最重要課題である。参加全施設の協力体制の下、学術誌、インターネットを介した症例募集の継続が必要である。

5. 結論

Crow-Fukase症候群に対するFPF300の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験を医師主導治験として実施している。またCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の継続投与試験の治験開始に向けた準備を行った。

6. 研究発表

1) Kitamura A, Maekawa Y, Uehara H, Izumi K, Kawachi I, Nishizawa M, Toyoshima Y, Takahashi H, Standley DM, Tanaka K, Hamazaki J, Murata S, Obara K, Toyoshima I, Yasutomo K. A mutation in the immunoproteasome subunit PSMB8 causes autoinflammation and lipodystrophy in humans. J Clin Invest. 121:4150-60, 2011.

2) Katsumata Y, Kawachi I, Kawaguchi Y, Gono T, Ichida H, Hara M, Yamanaka H. Semiquantitative

measurement of aquaporin-4 antibodies as a possible surrogate marker of neuromyelitis optica spectrum disorders with systemic autoimmune diseases. Mod Rheumatol. Epub ahead of print. 2011 Dec. 20.

3) 河内泉. アクチュアル脳・神経疾患の臨床・認知症・神経心理学的アプローチ・III. 認知症をきたす疾患. 多発性硬化症. 中山書店. 2012年3月1日発行.

7. その他

なし

治験の実施に関する研究[サリドマイド]

所属 国立大学法人 信州大学医学部付属病院

研究者 池田 修一

研究期間 2011/04/01～2012/03/31

研究分担者

信州大学医学部付属病院脳神経内科、リウマチ・膠原病内科 松田正之
信州大学医学部付属病院脳神経内科、リウマチ・膠原病内科 田澤浩一

研究要旨

平成22年9月より5年間の予定で開始したCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験である医師主導治験を継続実施している。稀少疾病であるため精力的に患者リクルートを行ない1例の候補患者がいたが、適格・除外基準に抵触するため、治験参加を断念した。引き続き被験者を募集している。さらに、現行の治験終了後から治験薬の適応追加承認取得までのFPF300の継続提供を目的としたCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300の継続投与試験の治験にむけた準備を進めた。平成23年12月22日に治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書標準業務手順書が当院IRBにて承認され、平成24年2月10日に治験届を医薬品医療機器総合機構に提出した。

1. 目的

Crow-Fukase症候群は形質細胞異常に伴い多発ニューロパチー、臓器腫大、内分泌異常、M蛋白 (monoclonal gammopathy)、色素沈着、剛毛、浮腫などの特異な臨床症状を呈する疾患である。国際的には、サリドマイド、移植療法をはじめとする新規治療が応用され予後が改善しつつある。しかし、日本国内では本症候群に対するサリドマイド療法の保険適応はなく、現時点で選択肢となる治療が非常に限定されている。本症候群へのサリドマイドの適応拡大を目的として多施設共同試験を行う。

2. 方法

【第II/III相試験】

1) 試験概要：Crow-Fukase症候群患者を対象とし、6ヶ月のランダム比較試験及び12ヶ月の長期オープン試験を行い、本症候群におけるFPF300の有効性及び安全性を検討する。ランダム期は、患者はFPF300投与群とプラセボ群の2群に割り付けられ、オープン試験期は全例にFPF300の投与が行われる。

2) 前年度に引き続き治験を実施する。

【継続投与試験】

1) 試験概要：先行する第II/III相試験を終了した患者を対象とし、治験薬のCrow-Fukase症候群患者に対する適応承認取得までFPF300の服用機会を提供する。また、FPF300の長期投与による安全性及び有効性についても検討する。

2) 継続投与治験の治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書、標準業務手順書の一式を当院IRBに申請する。

3. 結果

【第II/III相試験】

1) 稀少疾病であり、精力的に患者リクルートを行った。1例の候補患者がいたが、適格・除外基準に抵触するため、治験参加を断念した。引き続き被験者を募集している。

2) 治験の実施に際し、薬事法、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令及び関連法規制を遵守した。

【継続投与試験】

1) 平成23年12月22日に継続投与治験関連書類が当院IRBに承認され、平成24年2月10日に医薬品医療機器総合機構に治験届を提出した。3月より継続治験を開始する見込みである。

4. 考察

治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者の協力により、医師主導治験を実施している。本症候群は稀少疾病であり、症例の確保が今後の最重要課題である。参加全施設の協力体制の下、学術誌、インターネットを介した症例募集の継続が必要である。

5. 結論

Crow-Fukase症候群に対するFPF300の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験を医師主導治験として実施している。またCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の継続投与試験の治験開始に向けた準備を行った。

6. 研究発表

なし

7. その他

治験の実施に関する研究 [サリドマイド]

所属 名古屋大学

研究者 祖父江 元

研究期間 2011/04/01～2012/03/31

研究分担者

名古屋大学医学部附属病院 小池 春樹,
名古屋大学高等研究院 勝野 雅央,
名古屋大学大学院医学系研究科 飯島 正博

研究要旨

平成22年9月より5年間の予定で開始したCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験である医師主導治験を継続実施している。稀少疾病であるが、精力的に患者リクルートを行った。1例の候補患者がいたが、適格・除外基準に抵触するため、治験参加を断念した。引き続き被験者を募集している。また、既に治験に参加された1例に対し、治験の継続を行ったが、疾患の増悪を認めたため中止した。さらに、現行の治験終了後から治験薬の適応追加承認取得までのFPF300の継続提供を目的としたCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300の継続投与試験の治験にむけた準備を進めた。平成24年1月16日に治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書標準業務手順書が当院IRBにて承認され、平成24年2月10日に治験届を医薬品医療機器総合機構に提出した。

1. 目的

Crow-Fukase症候群は形質細胞異常に伴い多発ニューロパチー、臓器腫大、内分泌異常、M蛋白 (monoclonal gammopathy)、色素沈着、剛毛、浮腫などの特異な臨床症状を呈する疾患である。国際的には、サリドマイド、移植療法をはじめとする新規治療が応用され予後が改善しつつある。しかし、日本国内では本症候群に対するサリドマイド療法の保険適応はなく、現時点で選択肢となる治療が非常に限定されている。本症候群へのサリドマイドの適応拡大を目的として多施設共同試験を行う。

2. 方法

【第II/III相試験】

1) 試験概要: Crow-Fukase症候群患者を対象とし、6ヶ月のランダム比較試験及び12ヶ月の長期オープン試験を行い、本症候群におけるFPF300の有効性及び安全性を検討する。ランダム期は、患者はFPF300投与群とプラセボ群の2群に割り付けられ、オープン試験期は全例にFPF300の投与が行われる。

2) 前年度に引き続き治験を実施する。

【継続投与試験】

1) 試験概要: 先行する第II/III相試験を終了した患者を対象とし、治験薬のCrow-Fukase症候群患者に対する適応承認取得までFPF300の服用機会を提供する。また、FPF300の長期投与による安全性及び有効性についても検討する。

2) 継続投与治験の治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書、標準業務手順書の一式を当院IRBに申請する。

3. 結果

【第II/III相試験】

1) 稀少疾病であるが、精力的に患者リクルートを行った。1例の候補患者がいたが、適格・除外基準に抵触するため、治験参加を断念した。引き続き被験者を募集している。また、既に治験に参加された1例に対し、治験の継続を行ったが、疾患の増悪を認めたため中止した。

2) 治験の実施に際し、薬事法、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令及び関連法規制を遵守した

【継続投与試験】

2) 平成24年1月16日に、継続投与治験関連書類が当院IRBに承認され、平成24年2月10日に医薬品医療機器総合機構に治験届を提出した。3月より継続治験を開始する見込みである

4. 考察

治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者の協力により、医師主導治験を実施している。本症候群は稀少疾病であり、症例の確保が今後の最重要課題である。参加全施設の協力体制の下、学術誌、インターネットを介した症例募集の継続が必要である。

5. 結論

Crow-Fukase症候群に対するFPF300の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験を医師主導治験として実施している。またCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の継続投与試験の治験開始に向けた準備を行った。

6. 研究発表

なし

7. その他

なし

治験の実施に関する研究[サリドマイド]

所属 近畿大学医学部附属病院

研究者 楠 進

研究期間 2011/04/01～2012/03/31

研究分担者

三井良之
宮本勝一
西郷和真
高田和男
鈴木秀和

平成22年9月より5年間の予定で開始したCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験である医師主導治験を継続実施している。精力的に患者リクルートを行ったが、稀少疾病のため、現時点では候補患者はなく、引き続き被験者募集を継続する予定である。さらに、現行の治験終了後から治験薬の適応追加承認取得までのFPF300の継続提供を目的としたCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300の継続投与試験の治験にむけた準備を進めた。平成24年1月30日に治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書標準業務手順書が当院IRBにて承認され、平成24年2月10日に治験届を医薬品医療機器総合機構に提出した。

1. 目的

Crow-Fukase症候群は形質細胞異常に伴い多発ニューロパチー、臓器腫大、内分泌異常、M蛋白 (monoclonal gammopathy)、色素沈着、剛毛、浮腫などの特異な臨床症状を呈する疾患である。国際的には、サリドマイド、移植療法をはじめとする新規治療が応用され予後が改善しつつある。しかし、日本国内では本症候群に対するサリドマイド療法の保険適応はなく、現時点で選択肢となる治療が非常に限定されている。本症候群へのサリドマイドの適応拡大を目的として多施設共同試験を行う。

2. 方法

【第II/III相試験】

1) 試験概要：Crow-Fukase症候群患者を対象とし、6ヶ月のランダム比較試験及び12ヶ月の長期オープン試験を行い、本症候群におけるFPF300の有効性及び安全性を検討する。ランダム期は、患者はFPF300投与群とプラセボ群の2群に割り付けられ、オープン試験期は全例にFPF300の投与が行われる。

2) 前年度に引き続き治験を実施する。

【継続投与試験】

1) 試験概要：先行する第II/III相試験を終了した患者を対象とし、治験薬のCrow-Fukase症候群患者に対する適応承認取得までFPF300の服用機会を提供する。また、FPF300の長期投与による安全性及び有効性についても検討する。

2) 継続投与治験の治験実施計画書、治験薬概要書、説明同意文書、症例報告書、標準業務手順書の一式を当院IRBに申請する。

3. 結果

【第II/III相試験】

1) 精力的に患者リクルートを行ったが、稀少疾病のため、現時点では候補患者はなく、引き続き被験者募集を継続する予定である。

2) 治験の実施に際し、薬事法、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令及び関連法規制を遵守した。

【継続投与試験】

2) 平成24年1月30日に、継続投与治験関連書類が当院IRBにて承認され、平成24年2月10日に医薬品医療機器総合機構に治験届を提出した。3月より継続治験を開始する見込みである。

4. 考察

治験責任医師、分担医師、治験協力者、その他施設内外の関係者の協力により、医師主導治験を実施している。本症候群は稀少疾病であり、症例の確保が今後の最重要課題である。参加全施設の協力体制の下、学術誌、インターネットを介した症例募集の継続が必要である。

5. 結論

Crow-Fukase症候群に対するFPF300の有効性及び安全性を評価するための第II/III相プラセボ対照二重盲検群間比較多施設共同試験を医師主導治験として実施している。またCrow-Fukase (POEMS) 症候群に対するFPF300 (サリドマイド) の継続投与試験の治験開始に向けた準備を行った。

6. 研究発表

特になし

7. その他

特になし