

希少疾病に対する治験の課題

研究分担者 青木 正志 東北大学神経内科 教授

研究要旨

希少疾患（難病）に対する治療薬の開発は、社会から最も切望されている課題の一つである。一方、その治験を担うのは大手製薬会社とは限らず、大学病院などのアカデミアが主体となることも多い。元々試験の対象者が非常に少ない疾患の場合は日本全国の患者へ参加を呼び掛ける必要があり、さらには状況に応じて積極的に国際共同試験を行う必要がある。東北大学病院で行っている治験でも患者への情報提供には苦労している。希少疾患に対する医薬品や再生医療が期待される中で、全国の患者へどのように治験の情報を伝えていくかは重要な問題である。患者会が協力して治験の被験候補者を登録するシステム（レジストリ）の構築が求められる。

共同研究者

加藤昌昭（東北大学病院神経内科）

割田 仁（東北大学病院神経内科）

川内裕子（東北大学病院神経内科・徳洲会病院
ALS ケアセンター）

佐藤裕子（東北大学病院地域医療連携センタ
ー）

A. 研究目的

希少疾患に対する治験はいわゆる大手製薬メーカーが担うとは限らず、医師主導治験あるいはベンチャー企業と大学病院の共同開発の形態をとることが多い。元々試験の対象者が非常に少ない疾患の場合は日本全国の患者へ参加を呼び掛ける必要があり、状況に応じて積極的に国際共同試験を行う必要がある。いずれにせよ希少疾患の治験を成功させるためには試験対象患者（被験者）の候補者リストを作成することが重要となる。

B. 研究方法

東北大学病院で施行している縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーに対する医師主導治験（フェーズ I 試験）あるいは同院で現在施行中の筋萎縮性側索硬化症（ALS）に対する肝細胞

増殖因子(HGF)治験（フェーズ I 試験）における患者エントリーの状況を検証した。

（倫理面への配慮）

患者個人情報はいないで研究を行った。

C. 研究結果

縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーはわが国で約 300 名程度の患者しかいない希少疾患（ウルトラオーファン）であり、これまでに確立した治療法はない。一方で、国立精神神経医療研究センターの西野らが動物モデルにシアル酸を補充することで症状の改善に成功し、治療法の開発が期待されている。

シアル酸（N アセチルノイラミン酸）を用いた縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー患者に対するフェーズ I 試験は 2010 年 11 月から東北大学病院にて医師主導治験として行われた。被験者は 6 名であったが、患者会のメーリングリストによる呼びかけにて全国から患者が登録してもらうことができた。海外での試験結果を受けて、今年度（2013 年 10 月から）は追加のフェーズ I 試験を東北大学病院にて行っている。2012 年 6 月からは国立精神神経医療研究センターが運営する登録システム Remudy（Registry of Muscular Dystrophy）が立ち上

がっており、これとの連携も図っている。

ALS も治療法が確立していない難病である。企業による治験も行われているが、東北大学病院では強力な神経再生作用をもつ、肝細胞増殖因子 HGF を用いた治療法の開発をベンチャー企業と共同で進めている。

2011 年 6 月に治験届を提出し、同 7 月からフェーズ I 試験を開始した。試験開始にあたっては仙台および東京で記者会見を行い、情報提供に努めた。開始当初は全国から問い合わせがあったが、その後、患者・主治医からの問い合わせは徐々に少なくなり、エントリーに苦労している。本試験の進捗状況は患者会に随時、報告をして協力を得ている。

D. 考察

希少疾患に対する医薬品や再生医療が期待される中で、全国の患者へどのように治験の情報を伝えていくかは重要な問題である。患者会が協力して治験の被験候補者を登録するシステムの構築が求められる。

E. 結論

橋本班で構築している患者レジストリシステムのよって患者が治験などの正しい最新情報を得ることができるよう期待する。

F. 健康危険情報

特記事項なし

G. 研究発表（2013/4/1～2014/3/31 発表）

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

青木正志、ALS 治療研究の最新動向と HGF 治験の進展について

平成 25 年度日本 ALS 協会総会 特別講演
2013 年 5 月 18 日 戸山サンライズ、東京
青木正志、臨床研究における産官学連携の促進
アカデミアの立場から

第 12 回瀬戸内国際臨床試験カンファレンス
2013 年 10 月 5 日 愛媛県松山市

青木正志、DMRV 追加第 I 相試験の進捗状況と今後必要なこと

第 6 回遠位型ミオパチー患者会シンポジウム
2014 年 2 月 23 日 品川

H. 知的財産権の出願・登録状況
なし