

1月16日に院内関係者を対象にした治験セットアップミーティングを行い、治験を開始した。

(ウ)治験の進捗状況について
現在までのところ、適格症例が無く、治験実施には至っていない。

D) 考察

平成25年度の研究により、治験実施計画書が作成され、本院において予定通り治験を開始することができた。希少疾病であり被験者のリクルートが難しい点があるが、周辺の医療機関に治験の案内をするなど引き続き工夫をしたい。

E) 結論

本研究により再発・難治性のTTP患者に対するリツキシマブの効果と安全性を検証し、適応を早期に取得できることを期待する。

F) 健康危険情報

なし

G) 研究発表

[寄稿]

1. 上田 恭典、血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）の最新の実地治験登録量のすすめかた、
Medical Practice 2014, 31,
p120-124

H) 知的財産権の出願・登録状況

なし

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 25 年度 分担研究報告書

血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第Ⅱ相医師主導治験

研究分担者 村田 満 慶應義塾大学医学部 教授

【研究要旨】

血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）は、溶血性貧血、血小板減少、腎障害、発熱、精神神経症状の古典的 5 徴候を特徴とする難治性で致死的な疾患である。難治性疾患克服研究事業の対象疾患のひとつであり、国内患者数は約 500 名と推定される。我が国では 1998 年から ADAMTS13 解析を通じて TMA 症例の集積が行われ、これまでに 1000 例以上の非常に大きなデータベースが構築された。本研究では後天性 TTP で血漿交換に対して難治性、再発性の疾患を中心にリツキシマブの保険適用拡大の第Ⅱ相医師主導治験を行う。

A) 研究目的

再発・難治性の TTP に対するリツキシマブの効果と安全性を評価し、適応拡大の承認申請を目的とする。

B) 研究方法

自身が研究代表者を務める難治性疾患等政策研究事業、血液凝固異常症等に関する研究班とも連絡を密にとり、情報を共有しながら研究を進める。医薬品医療機器総合機構との薬事戦略相談により、治験実施計画書を作成した。また第 1 回班会議に参加して、他の 10 施設とのネットワークを形成した。院内の治験審査委員会への申請と治験開始前のセットアップミーティングを行った。

C) 研究成果

平成 25 年度は、医薬品医療機器総合機構（PMDA）との対面助言結果をもとに、治験実施計画書を作成した。再発・難治性の TTP 患者 6 名に対するシングルアーム試験をデザインした。なお、治験の対象は、成人日本人で後天性の TTP 患者とする。治験実施施設は、日本医師会治験促進センターを通じて公募し、患者数と治験の実施体制を考慮して 11 施設を選定した。11 月に第 1 回班会議を慶應大学で開催し、治験体制の構築、治験薬の確保、治験に必要な検査体制の調整などを行った。平成 26 年 1 月には PMDA に治験開始届を提出し、

治験を開始した。

D) 考察

治験終了後は治験総括報告書を作成し、TTP に対するリツキシマブの適応拡大について承認申請を行う予定である。なお、治験成績については、関係学会などで発表を行う予定である。

E) 結論

本研究により再発・難治性の TTP 患

者に対するリツキシマブの効果と安全性を検証し、海外と同様の適応を早期に取得できることを期待する。

F) 健康危険情報

なし

G) 研究発表

なし

H) 知的財産権の出願・登録状況

なし

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 25 年度 総括研究報告書

血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第 II 相医師主導治験

研究分担者 三宅真二 慶應義塾大学医学部 特任教授

【平成 25 年度薬事専門家 要約】

平成 25 年度に本研究事業に関して薬事専門家として行った仕事は次の 2 点である。(1) 医薬品医療機器総合機構 (PMDA) との薬事戦略相談の対面助言への出席および照会事項への回答作成への協力、(2) 研究班会議への出席。

(1) については、規制当局である PMDA が、今回の臨床試験結果を評価する基本情報である海外臨床試験と今回の臨床試験の評価項目が異なることに懸念をしめしていることを強調するなど、PMDA に受け入れやすい照会事項の回答作成に協力した。(2) については、研究班全体の状況把握につとめた。

平成 26 年度の薬事専門家の仕事としては、今後も研究班全体の動きに注意を払い、法令・規則違反などの発生を防ぐことに努める。また、規制当局・PMDA との折衝ごとに関与して、規制当局と研究班の相互理解を助けることなどにより、問題解決に協力する。

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 25 年度 総括研究報告書

血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第 II 相医師主導治験

研究分担者 阿部貴行 慶應義塾大学医学部 専任講師

【平成 25 年度生物統計家 要約】

平成 25 年度に本研究事業に関して生物統計家として行った仕事は次の 3 点である。(1) 治験実施計画書の生物統計学的部分の執筆、(2) 医薬品医療機器総合機構 (PMDA) との試験デザイン相談会議への出席および照会事項への回答、(3) CRO との打ち合わせ（主にデータベース構築に関するもの）や研究班会議への出席。

(1) については、国内患者数が約 500 例と推定されることから、実施可能性をもつ試験デザインを選択する必要があった。医学専門家と議論を重ね、主要評価項目と試験デザインを選択し、統計学的に必要な症例数の計算を行った。

(2) に関しても、PMDA との試験デザインの議論において生物統計学的な回答を行い、主解析の計画および症例数に関する合意を得た。(3) については、データマネジメント業務を行う DOT インターナショナル社の担当者と議論し、適切なデータベース構築を補助した。また、研究班会議に生物統計家として出席した。

平成 26 年度の生物統計家の仕事は、(1) 統計解析計画書 (SAP) の作成、(2) 統計ソフトウェア SAS を用いた、治験総括報告書 (CSR) 用の解析プログラムの作成および解析の実施、(3) CSR の生物統計部分のレビューである。慶應義塾大学医学部クリニカルリサーチセンター生物統計室で準備を進める計画である。

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 25 年度 分担研究報告書

血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第Ⅱ相医師主導治験

研究分担者 菊地佳代子 慶應義塾大学医学部 特任助教

【研究要旨】

血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）は、我が国の難治性疾患克服研究事業の対象疾患のひとつであり、国内患者数は約 500 名と推定される希少疾病である。後天性 TTP におけるリツキシマブの効果は、2002 年頃から症例報告され、本邦でも 2005 年から報告が増えている。また、海外の系統的レビューでは、再発・難治性の TTP 患者にリツキシマブが投与され、98%に有効であったことが報告されている。そこで、再発及び難治性の TTP に対するリツキシマブの有効性及び安全性を検討するために、第Ⅱ相医師主導治験が計画された。その中で、特に治験調整事務局、プロジェクトマネジメント、データマネジメント業務に関して CRO 業者へのアドバイス、補助を行うことで、短期間での治験立ち上げ及び効率的な運用を行う。

A) 研究目的

再発・難治性の血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価し、適応拡大の承認申請を目的とする。

（PM）、データマネジメント（DM）業務へのアドバイス：
クリニカルリサーチ内での PM、DM 経験をもとに、CRO 業者の DM、PM 業務に関してアドバイスをを行い、より効率的な運用を行う。

B) 研究方法

（ア）治験調整事務局の立ち上げ：
先行する医師主導治験の調整事務局業務の経験をもとに、CRO 業者での調整事務局業務立ち上げに関してアドバイスをを行う。

（イ）プロジェクトマネジメント

C) 研究成果

（ア）治験調整事務局の立ち上げ：
複数の CRO 業者と面接し、医師主導治験の実績、見積書などを考慮して、DOT インターナショナル社と CTD 社と契約した。さらに、当 CRO 業者に、

先行する医師主導治験での治験調整事務局の経験をもとにアドバイスをを行い、スムーズな治験表性事務局の立ち上げ及び運用に至った。

- (イ)PM、DM 業務へのアドバイス：
プロジェクトマネジメント
(PM)、データマネジメント
(DM) 業務の開始
クリニカルリサーチセンター
内での多くの臨床研究・医師主
導治験の PM・DM 業務の経験
をもとに、CRO 業者と協力体
制をとることで、短期間での治
験開始となった。

D) 考察

平成 25 年度の研究により、CRO 業者における治験事務局業務、PM、DM 業務を開始することができた。今後、より効率的な業

務遂行のために、引き続き、研究代表者、CRO 業者と協力体制をとっていきたい。

E) 結論

本研究により TTP 患者に対するリツキシマブの第 II 相医師主導治験の短期間での開始が可能となった。今後、当医師主導治験がより効率的に行われ、早期に適応を取得できることを期待する。

F) 健康危険情報

なし

G) 研究発表

なし

H) 知的財産権の出願・登録状況

なし

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 25 年度 分担研究報告書

血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第Ⅱ相医師主導治験

研究分担者 岡本 真一郎 慶應義塾大学病院 血液内科 教授

【研究要旨】

血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）は、致死率の高い希少疾患である。近年、その発症に関与する抗体が同定され、その抗体産生を抑制することが有効な治療となることが示唆されている。そこで、TTP に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価するための第Ⅱ相医師主導治験を開始した。

A) 研究目的

再発・難治性の血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価し、適応拡大の承認申請を目的とする。

を受け、再発・難治性の TTP 患者 6 名に対するシングルアーム試験をデザインした。なお、治験の対象は、成人日本人で後天性の TTP 患者とする。

B) 研究方法

(ア)治験実施計画書の作成：医薬品医療機器総合機構との薬事戦略相談により、治験実施計画書を作成する。

(イ)治験実施体制の確立：第 1 回班会議に参加して、他の 10 施設とのネットワークを形成する。院内の治験審査委員会への申請と治験開始前のセットアップを行う。

(イ)治験実施体制の確立

平成 25 年 1 月に慶應大学で開催した第 1 回班会議に、当施設から治験責任医師、治験コーディネーター、事務局担当者が参加した。平成 26 年 2 月院内の治験審査委員会で承認通知を受け、院内調整を行った。

C) 研究成果

(ア)研究実施計画書の作成
平成 25 年 9 月の医薬品医療機器総合機構の薬事戦略相談の結果

(ウ)治験の進捗状況について
慶應義塾大学血液内科関連病院および関東造血細胞移植共同研究グループにこの治験の説明を行い、協力を要請した。平成 26 年 3 月 31 日までに仮登録、本登

録に至った症例はいない。引き続き症例のリクルートを継続する。

D) 考察

平成 25 年度の研究により、治験実施計画書が作成され、本学において予定通り治験を開始することができた。希少疾病であり被験者のリクルートが難しい点があるが、被験者リクルートについて引き続き取り組みを行う。

E) 結論

本研究により再発・難治性の

TTP 患者に対するリツキシマブの効果と安全性を検証し、海外と同様の適応を早期に取得できることを期待する。

F) 健康危険情報

なし

G) 研究発表

なし

H) 知的財産権の出願・登録状況

なし

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 25 年度 分担研究報告書

血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第Ⅱ相医師主導治験

研究分担者 太田 秀一 医療法人北楡会 札幌北楡病院 血液内科 部長

【研究要旨】

血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）は、溶血性貧血、血小板減少、腎障害、発熱、精神神経症状の古典的 5 徴候を特徴とする難治性で致死的な疾患である。我が国の難治性疾患克服研究事業の対象疾患のひとつであり、国内患者数は約 500 名と推定される希少疾病である。TTP に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価するため、第Ⅱ相医師主導治験を開始した。

A) 研究目的

再発・難治性の血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価し、適応拡大の承認申請を目的とする。

平成 25 年 9 月の医薬品医療機器総合機構の薬事戦略相談の結果を受け、再発・難治性の TTP 患者 6 名に対するシングルアーム試験をデザインした。なお、治験の対象は、成人日本人で後天性の TTP 患者とする。

B) 研究方法

(ア)治験実施計画書の作成：医薬品医療機器総合機構との薬事戦略相談により、治験実施計画書を作成する。

(イ)治験実施体制の確立：第 1 回班会議に参加して、他の 10 施設とのネットワークを形成する。院内の治験審査委員会への申請と治験開始前のセットアップミーティングを行う。

(イ)治験実施体制の確立

平成 25 年 1 月に慶應大学で開催した第 1 回班会議に、当施設から治験責任医師、治験コーディネーター、事務局担当者が参加した。平成 26 年 3 月院内の治験審査委員会で承認後、関係者を対象にした治験セットアップミーティングを行い、4 月 1 日から治験を開始した。

C) 研究成果

(ア)研究実施計画書の作成

(ウ)治験の進捗状況について

現在の所、対象患者はまだ現れておらず、登録に至っていない。

D) 考察

希少疾病であり、また診断も困難である事から、被験者のリクルートは難しいと思われるが、引き続き院内のドクターにアナウンスする等して協力を呼び掛けていきたい。

E) 結論

本研究により該当疾患の患者に

対するリツキシマブの効果・安全性を検証し、海外と同様の適応を早期に取得できるよう努力していく

F) 健康危険情報

なし

G) 研究発表

なし

H) 知的財産権の出願・登録状況

なし

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 25 年度 分担研究報告書

血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第Ⅱ相医師主導治験

研究分担者 半田 寛 群馬大学医学部附属病院 血液内科講師

【研究要旨】

血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）は、溶血性貧血、血小板減少、腎障害、発熱、精神神経症状の古典的 5 徴候を特徴とする難治性で致死的な疾患である。我が国の難治性疾患克服研究事業の対象疾患のひとつであり、国内患者数は約 500 名と推定される希少疾病である。TTP に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価するため、第Ⅱ相医師主導治験を開始した。

A) 研究目的

再発・難治性の血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価し、適応拡大の承認申請を目的とする。

平成 25 年 9 月の医薬品医療機器総合機構の薬事戦略相談の結果を受け、再発・難治性の TTP 患者 6 名に対するシングルアーム試験をデザインした。なお、治験の対象は、成人日本人で後天性の TTP 患者とする。

B) 研究方法

(ア) 治験実施計画書の作成：医薬品医療機器総合機構との薬事戦略相談により、治験実施計画書を作成する。

(イ) 治験実施体制の確立：第 1 回班会議に参加して、他の 10 施設とのネットワークを形成する。院内の治験審査委員会への申請と治験開始前のセットアップミーティングを行う。

(イ) 治験実施体制の確立

平成 25 年 1 月に慶應大学で開催した第 1 回班会議に、当施設から治験責任医師、治験コーディネーター、事務局担当者が参加した。平成 26 年 1 月院内の治験審査委員会で承認後、関係者を対象にした治験セットアップミーティングを行い、2 月 1 日から治験を開始した。

C) 研究成果

(ア) 研究実施計画書の作成

(ウ) 治験の進捗状況について

現在までのところ本治験の適格基準を満たす症例がおらず、登録に至っていない。

D) 考察

平成 25 年度の研究により、治験実施計画書が作成され、本学において予定通り治験を開始することができた。しかし希少疾病であり被験者の確保が難しい点があり、周辺の医療機関に治験の案内をするなど引き続き努力をしたい。

E) 結論

本研究により再発・難治性の TTP 患者に対するリツキシマブの効果と安全性を検証し、海外と同様の適応を早期に取得できることを期待する。

F) 健康危険情報

なし

G) 研究発表

なし

H) 知的財産権の出願・登録状況

なし

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 25 年度 分担研究報告書

血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第Ⅱ相医師主導治験

研究分担者 朝倉英策 金沢大学附属病院高密度無菌治療部 准教授

【研究要旨】

血小板数の低下する血栓性疾患である血栓性血小板減少性紫斑病は、溶血性貧血、血小板減少、腎障害、発熱、精神神経症状を特徴とする致死的な疾患である。我が国の難治性疾患克服研究事業の対象疾患のひとつであり希少疾病であるが、適切な診断と治療が患者予後に直結する。TTP に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価するため、第Ⅱ相医師主導治験を開始した。

A) 研究目的

再発・難治性の血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価し、適応拡大の承認申請を目的とする。

B) 研究方法

(ア)治験実施計画書の作成：医薬品医療機器総合機構との薬事戦略相談により、治験実施計画書を作成する。

(イ)治験実施体制の確立：第 1 回班会議に参加して、他の 10 施設とのネットワークを形成する。院内の受託研究審査委員会（治験審査委員会）への申請と治験開始前のセットアップミーティングを行う。

C) 研究成果

(ア)研究実施計画書の作成

平成 25 年 9 月の医薬品医療機器総合機構の薬事戦略相談の結果を受け、再発・難治性の TTP 患者 6 名に対するシングルアーム試験をデザインした。なお、治験の対象は、成人日本人で後天性の TTP 患者とする。

(イ)治験実施体制の確立

平成 25 年 11 月 29 日に慶應大学で開催した第 1 回班会議（スタートアップミーティング）に、当施設から治験分担医師、治験コーディネーター、事務局担当者が参加した。平成 26 年 1 月 14 日開催の院内の受託研究審査委員会（治験審査委員会）で承認後、1 月 24 日に関係者を対象にした治験セットアップミーテ

ィングを行い、治験を開始した。

(ウ)治験の進捗状況について
平成 25 年度内に対象患者がおらず、登録に至らなかった。

D) 考察

平成 25 年度の研究により、治験実施計画書が作成され、本学において予定通り治験を開始することができた。ただし、希少疾病であり平成 25 年度内に対象患者の登録に至らなかった。県内のみならず北陸の各医療機関に対象症例の紹介をお願いするなど努力したい。

E) 結論

金沢大学附属病院先端医療開発センターの支援のもと、難治性 TTP に対するリツキシマブ臨床試験を開始できた。海外と同様の適応を早期に取得できることを期待する。

F) 健康危険情報

なし

G) 研究発表

なし

H) 知的財産権の出願・登録状況

なし

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 25 年度 分担研究報告書

血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第Ⅱ相医師主導治験

研究分担者 和田英夫 三重大学医学系研究科 准教授

【研究要旨】

血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）は、溶血性貧血、血小板減少、腎障害、発熱、精神神経症状の古典的 5 徴候を特徴とし、ADAMTS13 に対するインヒビターにより発症することが多い。また、インヒビターのタイター高値例では致死的な疾患である。我が国の難治性疾患克服研究事業の対象疾患のひとつであり、国内患者数は約 500 名と推定される希少疾病である。難治性 TTP に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価するため、第Ⅱ相医師主導治験を開始した。

1. 研究目的

再発・難治性の血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価し、適応拡大の承認申請を目的とする。

2. 研究方法

(ア)治験実施計画書の作成：医薬品医療機器総合機構との薬事戦略相談により、治験実施計画書を作成する。

(イ)治験実施体制の確立：第 1 回班会議に参加して、他の 10 施設とのネットワークを形成する。院内の治験審査委員会への申請と治験開始前のセットアップミーティングを行う。

3. 研究成果

(ア)研究実施計画書の作成

平成 25 年 9 月の医薬品医療機器総合機構の薬事戦略相談の結果を受け、再発・難治性の TTP 患者 6 名に対するシングルアーム試験をデザインした。なお、治験の対象は、成人日本人で後天性の TTP 患者とする。

(イ)治験実施体制の確立

平成 25 年 1 月に慶應大学で開催した第 1 回班会議に、当施設から治験責任医師、治験コーディネーター、事務局担当者が参加した。平成 26 年 1 月 15 日院内の治験審査委員会で承認後、関係者を対象にした治験セットア

ップミーティングを行い、1月27日から治験を開始した。

(ウ)治験の進捗状況について

平成26年2月21日に1名の仮登録をしたが、標準的治療の血漿交換療法で軽快して本治験の適格基準を満たせなかったため本登録に至らなかった。平成26年4月4日もTTP症例のコンサルトを受けるが、転院前に死亡された。

4. 考察

平成25年度の研究により、治験実施計画書が作成され、本学において予定通り治験を開始することができた。血漿交換により改善した症例や転院前に死亡された症例が存在し、治験に適合する症例に遭遇することが陸奥魁夷ことが実感された。しかし、希少疾病であり被験者のリクルートが難しい点があるが、是非成功させるべき臨床試験なので、周辺の医療機関に治験の案内をするなど引き続き工夫をしたい。

5. 結論

本研究により再発・難治性の高インヒビター価のTTP患者に対するリツキシマブの効果と安全性を検証し、海外と同様の適応を早期に取得できることを期待する。

6. 健康危険情報

なし

7. 研究発表

1. Kawasaki Y, Toyoda H, Otsuki S, et al: A novel Wiskott-Aldrich syndrome protein mutation in an infant with thrombotic thrombocytopenic purpura. Eur J Haematol. 2013; 90(2): 164-8
2. Takahashi N, Wada H, Usui M, et al: Behavior of ADAMTS13 and Von Willebrand factor levels in patients after living donor liver transplantation. Thromb Res. 2013; 131(3):225-9
3. Toyoda H, Azuma E, Kawasaki Y, et al: Cord blood transplantation combined with rituximab for Wiskott-Aldrich syndrome with autoimmune thrombotic thrombocytopenic purpura. J Allergy Clin Immunol. 2013;132(1):226-7
4. Nobuoka Y, Wada H, Mizuno S, et al: Prolonged thrombocytopenia after living donor liver transplantation is a strong prognostic predictor irrespective of history of splenectomy: the significance of ADAMTS13 and graft function. Int J Hematol (in press)

8. 知的財産権の出願・登録状況

なし

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 25 年度 分担研究報告書

血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第Ⅱ相医師主導治験

研究分担者 西尾 健治 奈良県立医科大学附属病院 准教授

【研究要旨】

血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）は、溶血性貧血、血小板減少、腎障害、発熱、精神神経症状の古典的 5 徴候を特徴とする難治性の疾患である。症例数が少なく、適切な治療を行わなければ致死率 90%以上の極めて予後不良疾患であり、厚生労働省の難治性疾患克服研究事業の対象疾患に定められている。TTP に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価するため、第Ⅱ相医師主導治験を開始した。

A) 研究目的

再発・難治性の血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価し、適応拡大の承認申請を目的とする。

B) 研究方法

(ア)治験実施計画書の作成：医薬品医療機器総合機構との薬事戦略相談により、治験実施計画書を作成する。

(イ)治験実施体制の確立：第 1 回班会議に参加して、他の 10 施設とのネットワークを形成する。院内の治験審査委員会への申請と治験開始前のセットアップミーティングを行う。

C) 研究成果

(ア)研究実施計画書の作成

平成 25 年 9 月の医薬品医療機器総合機構の薬事戦略相談の結果を受け、再発・難治性の TTP 患者 6 名に対するシングルアーム試験をデザインした。なお、治験の対象は、成人日本人で後天性の TTP 患者とする。

(イ)治験実施体制の確立

平成 25 年 1 月に慶應大学で開催した第 1 回班会議に、当施設から治験責任医師、治験コーディネーター、事務局担当者が参加した。平成 26 年 1 月に治験審査委員会で承認後、関係者を対象にした治験セットアップミーティングを行い、2 月 19 日から治

験を開始した。

(ウ)治験の進捗状況について
本年 12 月 31 日まで被験者の登録を続ける。

D) 考察

平成 25 年度の研究により、治験実施計画書が作成され、本学において予定通り治験を開始することができた。希少疾患であり、候補患者を見つけることが難しく、周辺の医療機関に治験の案内をするなど引き続き工夫をしたい。

E) 結論

本研究により再発・難治性の TTP 患者に対するリツキシマブの有効性と安全性を検証し、適応を早期に取得できることを期待する。

F) 健康危険情報

なし

G) 研究発表

なし

H) 知的財産権の出願・登録状況

なし

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）

平成 25 年度 分担研究報告書

血栓性血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第Ⅱ相医師主導治験

研究分担者 椿 和央 近畿大学医学部奈良病院 教授

【研究要旨】

血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）は、溶血性貧血、血小板減少、腎障害、発熱、精神神経症状の古典的 5 徴候を特徴とする難治性で致死的な疾患である。我が国の難治性疾患克服研究事業の対象疾患のひとつであり、国内患者数は約 500 名と推定される希少疾病である。TTP に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価するため、第Ⅱ相医師主導治験を開始した。

A) 研究目的

再発・難治性の血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）に対する抗体医薬リツキシマブの効果と安全性を評価し、適応拡大の承認申請を目的とする。

B) 研究方法

(ア)治験実施計画書の作成：医薬品医療機器総合機構との薬事戦略相談により、治験実施計画書を作成する。

(イ)治験実施体制の確立：第 1 回班会議に参加して、他の 10 施設とのネットワークを形成する。院内の治験審査委員会への申請と治験開始前のセットアップミーティングを行う。

C) 研究成果

(ア)研究実施計画書の作成

平成 25 年 9 月の医薬品医療機器総合機構の薬事戦略相談の結果を受け、再発・難治性の TTP 患者 6 名に対するシングルアーム試験をデザインした。なお、治験の対象は、成人日本人で後天性の TTP 患者とする。

(イ)治験実施体制の確立

平成 25 年 1 月に慶應大学で開催した第 1 回班会議に、当施設から治験責任医師、治験コーディネーター、事務局担当者が参加した。平成 26 年 2 月院内の治験審査委員会で承認後、関係者を対象にした治験セットアップミーティング及び EDC トレーニングを行い、2 月 20 日から治験を開始した。