

201409047A

厚生労働科学研究費補助金
医療技術実用化総合研究事業（臨床研究・治験推進研究事業）

医師主導治験の実施支援並びに我が国の治験推進に関する研究

平成26年度 総括研究報告書集

研究代表者

公益社団法人 日本医師会

平成27（2015）年3月

目次

《総括研究報告書》

治験薬：酢酸リュープロレリン	1
●治験の調整・管理に関する研究	
球脊髄性筋萎縮症に対する酢酸リュープロレリンの効果に関する研究	祖父江元 3
治験薬：サリドマイド	5
●治験の調整・管理に関する研究	
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	桑原 聡 7
●治験の実施に関する研究	
治験の実施に関する研究 [サリドマイド]	矢部一郎 9
治験の実施に関する研究 [サリドマイド]	桑原 聡 10
治験の実施に関する研究 [サリドマイド]	西澤正豊 12
治験の実施に関する研究 [サリドマイド]	楠 進 13
治験の実施に関する研究 [サリドマイド]	渡邊 修 15
治験機器：ヒト自家移植組織（自家培養表皮）	17
●治験の調整・管理に関する研究	
先天性巨大色素性母斑に対する自家培養表皮の研究	金子 剛 19
治験薬：ブリリアントブルーG250	21
●治験の調整・管理に関する研究	
ブリリアントブルーG (BBG250) による内境界膜染色・剥離術	石橋達朗 23
●治験の実施に関する研究	
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	緒方奈保子 25
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	平形明人 26
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	園田康平 28
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	久保田敏昭 29
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	大路正人 31
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	西田幸二 32
治験薬：エプレレノン	33
●治験の調整・管理に関する研究	
急性心不全に対する選択的アルドステロン拮抗薬の有効性を評価する臨床試験	北風政史 35
●治験の実施に関する研究	
治験の実施に関する研究 [エプレレノン]	安田 聡 38
治験の実施に関する研究 [エプレレノン]	花谷彰久 39
治験の実施に関する研究 [エプレレノン]	斎藤能彦 41
治験の実施に関する研究 [エプレレノン]	平田健一 43
治験の実施に関する研究 [エプレレノン]	中川義久 45
治験の実施に関する研究 [エプレレノン]	小林洋一 47
治験の実施に関する研究 [エプレレノン]	平山篤志 49
治験の実施に関する研究 [エプレレノン]	山科 章 51
治験の実施に関する研究 [エプレレノン]	百村伸一 53

治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	佐藤康弘	55
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	西裕太郎	57
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	浅井邦也	59
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	吉川 勉	61
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	山田貴久	63
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	木村一雄	65
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	猪又孝元	66
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	田村 律	69
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	東野順彦	71
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	辻本 充	73
治験薬：テムシロリムス		75
●治験の調整・管理に関する研究		
卵巣明細胞腺癌に対するテムシロリムスを含む化学療法の有効性及び安全性に関する研究	藤原恵一	77
●治験の実施に関する研究		
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	板持広明	79
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	杉山 徹	81
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	高野忠夫	82
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	岡本愛光	83
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	青木大輔	84
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	野河孝充	85
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	中村俊昭	86
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	櫻木範明	87
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	万代昌紀	88
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	青木陽一	89
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	榎本隆之	91
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	齋藤俊章	92
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	温泉川真由	93
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	武隈宗孝	95
治験薬：オラパリブ		97
●治験の調整・管理に関する研究		
治療抵抗性再発・転移性のトリプルネガティブ乳癌に対するOlaparib と化学療法の併用療法の開発	山本春風	99
●治験の実施に関する研究		
治験の実施に関する研究 [オラパリブ]	山本春風	104
治験の実施に関する研究 [オラパリブ]	増田慎三	106
治験の実施に関する研究 [オラパリブ]	青儀健二郎	107
治験の実施に関する研究 [オラパリブ]	清水 哲	108
治験の実施に関する研究 [オラパリブ]	高橋将人	110
治験の実施に関する研究 [オラパリブ]	中村力也	111
治験の実施に関する研究 [オラパリブ]	内藤陽一	113
治験薬：グルカルピダーゼ		115
●治験の調整・管理に関する研究		
大量メソトレキサート療法時に生じるメソトレキサート排泄遅延に対してのグルカルピダーゼの臨床薬理および早期有効性・安全性検討試験	河本 博	117

大量メソトレキサート療法時に生じるメソトレキサート排泄遅延に対してのグルカルピダーゼの臨床薬理および早期有効性・安全性検討試験	佐藤暁洋 (研究分担者)	119
●治験の実施に関する研究		
治験の実施に関する研究 [グルカルピダーゼ]	平賀博明	120
治験の実施に関する研究 [グルカルピダーゼ]	河本 博	121
治験の実施に関する研究 [グルカルピダーゼ]	小川 淳	122
治験の実施に関する研究 [グルカルピダーゼ]	原 純一	123
治験の実施に関する研究 [グルカルピダーゼ]	湯坐有希	124
治験の実施に関する研究 [グルカルピダーゼ]	康 勝好	125
治験の実施に関する研究 [グルカルピダーゼ]	菊田 敦	126
治験の実施に関する研究 [グルカルピダーゼ]	古賀友紀	127
治験機器：小児用補助人工心臓		129
●治験の調整・管理に関する研究		
小児用補助人工心臓 Berlin Heart Excor の安全性と有効性の研究	小野 稔	131
●治験の実施に関する研究		
治験の実施に関する研究 [小児用補助人工心臓]	平田康隆	136
治験の実施に関する研究 [小児用補助人工心臓]	澤 芳樹	138
治験薬：アルベカシン硫酸塩		141
●治験の調整・管理に関する研究		
アルベカシンのデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者に対する安全性、ナンセンス変異のリードスルー作用に基づく有効性の検討を目的としたプラセボ対照無作為化試験	竹島泰弘	143
アルベカシンのデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者に対する安全性、ナンセンス変異のリードスルー作用に基づく有効性の検討を目的としたプラセボ対照無作為化試験	飯島一誠 (研究分担者)	144
●治験の実施に関する研究		
治験の実施に関する研究 [アルベカシン硫酸塩]	飯島一誠	145
治験の実施に関する研究 [アルベカシン硫酸塩]	小牧宏文	146
治験の実施に関する研究 [アルベカシン硫酸塩]	石垣景子	147
治験の実施に関する研究 [アルベカシン硫酸塩]	竹島泰弘	148
治験薬：A型ボツリヌス毒素		149
●治験の調整・管理に関する研究		
痙攣性発声障害に対する A 型ボツリヌス毒素（ボトックス）の甲状披裂筋/後輪状披裂筋内局所注入療法の有効性と安全性に関する研究	兵頭政光	151
●治験の実施に関する研究		
治験の実施に関する研究 [A 型ボツリヌス毒素]	兵頭政光	153
治験の実施に関する研究 [A 型ボツリヌス毒素]	畠山博充	154
治験の実施に関する研究 [A 型ボツリヌス毒素]	大森孝一	155
治験の実施に関する研究 [A 型ボツリヌス毒素]	折館伸彦	156
治験の実施に関する研究 [A 型ボツリヌス毒素]	内藤健晴	157
治験の実施に関する研究 [A 型ボツリヌス毒素]	齋藤 幹	158
治験の実施に関する研究 [A 型ボツリヌス毒素]	原 浩貴	160
治験の実施に関する研究 [A 型ボツリヌス毒素]	讃岐徹治	161

治験機器：肺動脈ステント	163
●治験の調整・管理に関する研究	
肺動脈狭窄に対する CP ステント留置の有効性と安全性に関する研究	富田 英 165
●治験の実施に関する研究	
治験の実施に関する研究 [肺動脈ステント]	富田 英 166
治験の実施に関する研究 [肺動脈ステント]	小林俊樹 167
治験の実施に関する研究 [肺動脈ステント]	杉山 央 168
治験の実施に関する研究 [肺動脈ステント]	小野 博 169
治験の実施に関する研究 [肺動脈ステント]	朴 仁三 171
治験の実施に関する研究 [肺動脈ステント]	上田秀明 172
治験の実施に関する研究 [肺動脈ステント]	白石 公 173
治験の実施に関する研究 [肺動脈ステント]	大月 審一 174
治験の実施に関する研究 [肺動脈ステント]	須田憲治 175
治験の実施に関する研究 [肺動脈ステント]	石井正浩 176
治験機器：ONYX液体塞栓システム	177
●治験の調整・管理に関する研究	
硬膜動静脈瘻に対する Onyx 液体塞栓システムを用いた塞栓術の安全性と有効性に関する研究	坂井信幸 179
●治験の実施に関する研究	
治験の実施に関する研究 [ONYX]	坂井信幸 180
治験の実施に関する研究 [ONYX]	杉生憲志 181
治験の実施に関する研究 [ONYX]	泉 孝嗣 182
治験の実施に関する研究 [ONYX]	桑山直也 183
治験薬：モノエタノールアミノレイン酸塩	185
●治験の調整・管理に関する研究	
胃静脈瘤に対するモノエタノールアミノレイン酸塩を使用したバルーン閉塞下逆行性静脈閉塞に関する医師主導治験の調整・管理に関する研究	田嶋 強 187
●治験の実施に関する研究	
治験の実施に関する研究 [モノエタノールアミノレイン酸塩]	田嶋 強 189
治験の実施に関する研究 [モノエタノールアミノレイン酸塩]	持田 智 190
治験の実施に関する研究 [モノエタノールアミノレイン酸塩]	小泉 淳 191
治験の実施に関する研究 [モノエタノールアミノレイン酸塩]	廣田省三 192
治験の実施に関する研究 [モノエタノールアミノレイン酸塩]	西田典史 193
治験の実施に関する研究 [モノエタノールアミノレイン酸塩]	保本 卓 194
治験の実施に関する研究 [モノエタノールアミノレイン酸塩]	國分茂博 195
治験の実施に関する研究 [モノエタノールアミノレイン酸塩]	日高 央 197
治験薬：5-アミノレブリン酸塩酸塩/クエン酸第一鉄ナトリウム	199
●治験の計画に関する研究	
ミトコンドリア病に対する 5-アミノレブリン酸塩酸塩およびクエン酸第一鉄ナトリウムの有効性及び安全性に関する研究	大竹 明 201
●治験の調整・管理に関する研究	
ミトコンドリア病に対する 5-アミノレブリン酸塩酸塩およびクエン酸第一鉄ナトリウムの有効性及び安全性に関する研究	大竹 明 203
●治験の実施に関する研究	
治験の実施に関する研究 [5ALA・SFC]	大竹 明 206

治験の実施に関する研究 [5ALA・SFC]	夏目 淳	208
治験の実施に関する研究 [5ALA・SFC]	最上友紀子	209
治験の実施に関する研究 [5ALA・SFC]	白石秀明	210
治験の実施に関する研究 [5ALA・SFC]	村山 圭	211
治験の実施に関する研究 [5ALA・SFC]	佐藤誠一	213
治験薬：シクロスポリン		215
●治験の調整・管理に関する研究		
重症川崎病患児を対象とした免疫グロブリンと免疫グロブリン +シクロスポリンA併用療法の多施設共同非盲検ランダム化比較 試験	羽田 明	217
●治験の実施に関する研究		
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	江畑亮太	220
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	濱田洋通	222
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	鈴木啓之	223
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	平井克樹	225
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	柳井雅明	227
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	益田博司	228
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	濱平陽史	230
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	鎌田政博	231
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	檜垣高史	232
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	中矢代真美	234
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	佐藤純一	235
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	諏訪部信一	236
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	曾我恭司	238
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	有賀 正	239
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	山本英一	240
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	篠木敏彦	242
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	大熊喜彰	243
治験薬：ch14.18 /CH0		245
●治験の計画に関する研究		
神経芽腫の患者に対するモノクローナル抗体 ch14.18/CH0 持続 投与の第Ⅰ相試験（医師主導治験）	高橋義行	247
●治験の調整・管理に関する研究		
神経芽腫の患者に対するモノクローナル抗体 ch14.18/CH0 持続 投与の第Ⅰ相試験（医師主導治験）	高橋義行	249
●治験の実施に関する研究		
治験の実施に関する研究 [ch14.18/CH0]	高橋義行	252
治験薬：5-アミノブレリン酸塩酸塩		255
●治験の計画に関する研究		
胃癌腹膜播種に対する 5-アミノブレリン酸を用いた光力学的判 断の有用性に関する研究	土岐祐一郎	257
治験薬：フェニル酪酸ナトリウム		259
●治験の計画に関する研究		
進行性家族性肝内胆汁うっ滞症患者におけるフェニル酪酸ナト リウムの有効性と安全性を目的としたオープン試験	近藤宏樹	261

治験機器：迅速小型がん診断支援装置	263
●治験の計画に関する研究	
迅速小型がん診断支援装置（PESI-MS/dPLRM）の腎臓がんまたは肝臓がんにおける診断精度を検証する多施設共同試験	竹田 扇 265
治験薬：レンバチニブ	267
●治験の計画に関する研究	
切除不能大腸がんに対するレンバチニブの医師主導治験の計画実施に関する研究	山田康秀 269
治験薬：ブレンツキシマブベドチン	271
●治験の計画に関する研究	
小児の再発・難治性ホジキンリンパ腫（HL）及び未分化大細胞リンパ腫（ALCL）に対するブレンツキシマブベドチン（遺伝子組換え）の開発	堀部敬三 273
治験薬：フィルグラスチム	275
●治験の調整・管理に関する研究	
急性脊髄損傷患者に対する顆粒球コロニー刺激因子を用いたラシダム化、プラセボ対照、二重盲検並行群間比較試験 第Ⅲ相試験	高橋和久 277
厚生労働科学研究費補助金（医療技術実用化総合研究事業）臨床研究・治験推進研究事業	279
医師主導治験の実施支援並びに我が国の治験推進に関する研究	公益社団法人日本医師会 281
《総合研究報告書》	
治験機器：ヒト自家移植組織（自家培養表皮）	291
●治験の調整・管理に関する研究	
先天性巨大色素性母斑に対する自家培養表皮の研究	金子 剛 293
治験薬：ブリリアントブルーG250	295
●治験の調整・管理に関する研究	
ブリリアントブルーG（BBG250）による内境界膜染色・剥離術	石橋達朗 297
●治験の実施に関する研究	
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	緒方奈保子 300
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	平形明人 302
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	園田康平 305
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	久保田敏昭 307
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	大路正人 309
治験の実施に関する研究 [ブリリアントブルーG250]	西田幸二 311
治験薬：テムシロリムス	313
●治験の実施に関する研究	
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	板持広明 315
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	杉山 徹 317
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	高野忠夫 320
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	岡本愛光 322
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	青木大輔 323

治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	野河孝充	324
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	中村俊昭	326
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	櫻木範明	328
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	万代昌紀	329
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	青木陽一	331
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	榎本隆之	334
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	齋藤俊章	336
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	温泉川真由	338
治験の実施に関する研究 [テムシロリムス]	武隈宗孝	340
治験薬：エブレレノン		341
●治験の実施に関する研究		
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	平田健一	343
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	百村伸一	345
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	佐藤康弘	347
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	浅井邦也	349
治験の実施に関する研究 [エブレレノン]	吉川 勉	351
治験薬：5-アミノレブリン酸塩酸塩/クエン酸第一鉄ナトリウム		355
●治験の計画に関する研究		
ミトコンドリア病に対する 5-アミノレブリン酸塩酸塩およびク エン酸第一鉄ナトリウムの有効性及び安全性に関する研究	大竹 明	357
治験薬：ch14.18 /CHO		359
●治験の計画に関する研究		
神経芽腫の患者に対するモノクローナル抗体 ch14.18/CHO 持続 投与の第 I 相試験（医師主導治験）	高橋義行	361
治験薬：シクロスポリン		367
●治験の実施に関する研究		
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	濱平陽史	369
治験の実施に関する研究 [シクロスポリン]	篠木敏彦	370

酢酸リユープロレリン 総括研究報告書

球脊髄性筋萎縮症に対する酢酸リュープロレリンの効果に関する研究

所 属 名古屋大学大学院医学系研究科

研究者 祖父江 元

研究期間 平成26年4月1日～平成27年3月31日

研究分担者

- (1) 名古屋大学大学院医学系研究科 神経内科 勝野雅央
- (2) 名古屋大学大学院医学系研究科 神経内科 橋詰 淳

研究要旨

本年度も昨年度に引き続き、球脊髄性筋萎縮症（SBMA）患者に対するリュープロレリン酢酸塩の有効性および安全性を評価することを目的とする追加第Ⅱ相試験に関する治験調整業務を行った。治験調整委員会を設置し、治験薬提供者、各開発業務受託機関、各実施医療機関、効果安全性評価委員会および日本医師会治験促進センターを対象に調整業務を行い、総括報告書を作成するとともに、承認申請に向けて医薬品医療機器総合機構との協議を実施した。

1. 目的

過去にLH-RHアゴニストが投与されたことのない球脊髄性筋萎縮症（SBMA）患者（未治療例）を対象に、TAP-144-SR（3M）〔一般名：リュープロレリン酢酸塩〕投与による有効性および安全性についてプラセボ対照二重盲検比較試験によって評価する追加第Ⅱ相試験を、多施設共同で円滑に実施する。本試験の主要評価の対象集団とは別に、過去にLH-RHアゴニストが投与されたことのある患者（既治療例）においても同様の評価を行い、LH-RHアゴニストによる既治療の影響も検討する。

2. 方法

本治験における実施施設は5施設であり、治験責任医師も5名と複数になるため、治験の円滑な実施を目的として、治験調整委員会への業務の委嘱の手順書および治験調整委員会の業務手順書を作成し、治験調整委員会を設置した。治験調整委員会は、治験調整医師および名古屋大学神経内科内に設置したJASMITT治験事務局で構成され、各治験責任医師から委嘱を受けた上で、業務手順書に定められた治験調整業務を遂行し、治験薬提供者、各開発業務受託機関、各実施医療機関、外部評価委員会（効果安全性評価委員会・嚥下造影読影中央判定委員会）および日本医師会治験促進センターとの調整を行う。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」ならびに関連法規制を遵守する。

3. 結果

平成24年1月11日に医薬品医療機器総合機構に対して自治医科大学、千葉大学、東京大学、名古屋大学の4施設共同で治験届を提出し、平成24年3月8日に東京医科歯科大学が治験届を提出した本治験（TAP-144-SR(3M)の球脊髄性筋萎縮症患者に対する追加第Ⅱ相二重盲検比較試験）は、平成26年1月に最終の被験者評価が終了した。目標症例数が100例（未治療例80例、既治療例20例）のところ、108例（未治療例87例、既治療例21例）の登録があり、治験薬の割付が行われたが、同意撤回などの理由にて4例の治験薬投与前中止があり、104例（未治療例84例、既治療例20例）の被験者に対して治験薬初回投与が行われた。その後、同意撤回による中止が1例、有害事象の発生に伴う中止が1例、追跡不能による中止が1例あり、最終的には101（未治療例82例、既治療例19例）名の被験者で治験薬投与が完遂された。治験薬の回収後、平成26年7月18日に治験終了届を提出した。また監査計画書に基づいて、システム監査および治験終了時の監査が平成26年2月に名古屋大学医学部附属病院および治験調整委員会に対して実施され、本治験が薬事法、「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」ならびに関連法規制を遵守して実施されたことが確認された。

治験終了後、収集された有効性・安全性に関する諸データはデータマネージメント業務を委託したイーピーエス株式会社の管理の基でデータチェックが行われた。その後、平成26年5月31日に症例検討会を実施し、データの取扱いが最終決定した。また平成26年5月28日には効果安全性評価委員会が実施され、本治験における安全性情報の取扱いに問題がなかったことや、有効性・安全性に影響を及ぼす逸脱は認められなかったことが確認された。すべてのデータが固定された後、平成26年7月8日に關鍵作業を実施した。その後、統計解析計画書に基づき解析作業が実施され、本治験の総括報告書を作成した。平成26年12月には総括報告書に対する監査も終了し、総括報告書の固定に至った。

本治験では、SBMA患者にTAP-144-SR（3M）又はプラセボを二重盲検下で12週ごとに4回投与した結果、主要評価項目であるFAS（未治療例）の初回嚥下後1回法で測定した咽頭部バリウム残留率では、プラセボ群と比べTAP群で改善する傾向は認めたものの、有意差には至らなかった。副次評価項目のうち、陰嚢皮膚抗ポリグルタミン抗体陽性細胞数の割合及び血清CK濃度は、FAS（未治療例）及びFAS（既治療例）のいずれにおいても有意な改善が認められたが、その他の評価項目では有意な改善は認められなかった。被験者にはTAP-144-SR

(3M) 投与に伴う副作用が認められたが、いずれも既知の事象であり高度の事象はなく、安全性には問題ないと思われる。有効性、安全性共に既治療例で未治療例と大きな差はなく、投与経験の影響はほとんどないと思われる。

本治験では実施可能性も考慮し、当局との対面助言・事前面談を経て症例数を40例/群に設定したため、検出力不足が懸念された。その補強策を治験薬提供者とも協議し、前相試験と本治験とのメタ解析を実施することも決定し、その統計解析計画書をイーピーエス株式会社に委託して作成した。この方針については、平成26年2月13日の事前面談にて当局へも報告した。

本治験の主要評価項目の速報結果および前相試験との統合解析（メタ解析）の結果を基に、医薬品医療機器総合機構の事前面談（平成26年8月27日）が行われ、今後承認申請に向けて確認・検討すべき点等について機

構意見をいただいた。指摘があった事項に関する追加解析が終了したため、平成26年12月12日に事前面談を再度行い、承認申請に向けて検討すべき点等について再度、機構意見をいただいた。その際、今後の承認申請のプロセスを進めるため周辺情報を含めた追加の情報を12月の事前面談で求められたことから、医師主導治験以外の自主臨床試験においてTAPを長期使用した症例のデータ解析も実施し、平成27年3月25日に再度、事前面談を実施した。この面談では今後の承認申請に向けて確認すべき点について指摘があり、今後これに関する情報を収集した上で機構へ報告することとなった。

4. 考察

今回の治験は、治験実施施設が5施設となる多施設共同試験であり、被験者数も100例と稀少疾患を対象とするⅡ相試験としては比較的規模が大きい治験で、治験調整委員会にとっては判断に苦慮する調整業務に直面することが予想されたが、各治験実施施設や日本医師会治験促進センターなどの関係者の尽力により、順調に治験を実施することができた。今後も承認申請に向け、各関係者との連絡を密にとりつつ、医薬品医療機器総合機構との協議を進めたい。

5. 結論

球脊髄性筋萎縮症（SBMA）患者を対象に、TAP-144-SR（3M）投与による有効性および安全性についてプラセボ対照二重盲検比較試験によって評価する多施設共同での追加第Ⅱ相試験に関する治験調整業務を行い、総括報告書を作成した。また、承認申請に向けた医薬品医療機器総合機構との協議を実施した。

6. 研究発表

（刊行物）

1) Katsuno M et al.: Potential therapeutic targets in polyglutamine-mediated diseases. Expert Rev Neurother. 14(10): 1215-1228, 2014

2) Araki A et al.: Brugada syndrome in spinal and bulbar muscular atrophy. Neurology. 82(20): 1813-1821, 2014

3) 鈴木啓介ら：4 運動神経の変性疾患 ③球脊髄性筋萎縮症. 神経内科研修ノート. pp310-313, 診断と治療社, 東京, 2015

（学会発表）

なし

7. その他

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、平行群間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 平成26年4月1日～平成27年3月31日

研究分担者

- (1) 千葉大学医学部附属病院神経内科・講師 三澤 園子
- (2) 千葉大学医学部附属病院臨床試験部・教授 花岡 英紀
- (3) 千葉大学医学部附属病院看護部・副看護部長 金澤 薫
- (4) 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26年2月に最終症例の組入れを終え、平成26年度は被験者観察のみとなった。ランダム化比較試験期の最終症例(25例)の被験者観察終了7月、データ仮固定9月、症例検討会10月、VEGF結果入手及びデータ固定11月、治験総括報告書案の入手1月、効果安全性評価委員会2月と進めた。

【ランダム化比較試験期症例内訳】

登録症例25例(実薬13例、プラセボ12例)

投与満了14例(実薬8例、プラセボ6例)、早期移行9例(実薬3例、プラセボ6例)、中止2例(実薬2例、プラセボ0例)

【長期安全性試験期症例進捗】

合計22例：実施中1例、投与終了13例、中止9例

なお、継続投与試験へは平成26年度は3例移行した(累積13例、うち1例中止)。

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群に割付け、オープン試験期は全例にFPF300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。治験期間は2012年3月～製造販売承認日までを予定している。

3. 結果

(1) 治験開始後

1) 症例集積

平成26年2月に最終症例の組入れを終え、平成26年度は被験者観察のみとなった。ランダム化比較試験期の最終症例(25例)の被験者観察終了7月、データ仮固定9月、症例検討会10月、VEGF結果入手及びデータ固定11月、治験総括報告書案の入手1月、効果安全性評価委員会2月と進めた。

【ランダム化比較試験期症例内訳】

登録症例25例(実薬13例、プラセボ12例)

投与満了14例(実薬8例、プラセボ6例)、早期移行9例(実薬3例、プラセボ6例)、中止2例(実薬2例、プラセボ0例)

【長期安全性試験期症例進捗】

合計22例：実施中1例、投与終了13例、中止9例

なお、継続投与試験へは平成26年度は3例移行した(累積13例、うち1例中止)。

2) 計画書等改訂

以下の通り改訂を行った。

- ① 治験実施計画書別紙1 2.9版(2014年12月1日)：実施医療機関の削除

3) 監査

比較試験においては、実施医療機関調査（新潟大学）を受けた。重大な指摘は認められなかった。

4) 治験変更届

二重盲検試験及び継続投与試験いずれも、治験計画変更届を平成26年3月20日（治験分担医師等の変更）、同9月4日（実施医療機関の削除）に提出した。

4. 考察

今年度はランダム化比較試験期の結果をまとめた。JPOST10及びJPOST12において、重篤な有害事象は8件、うち2次性発がんについて当局報告を行った。観察中の被験者に対しては、今後も安全性に留意し、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活動が登録満了へとつながったと考える。今後は疾患認知度の向上と医師主導治験の必要性について継続的な上記活動が必要と考える。

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5年度目であり、ランダム化比較試験期結果の解析を実施した。今後も医師主導治験を継続し長期安全性試験期の完遂を目指す。

6. 研究発表

1. Katayama K, Misawa S, Sato Y, Sobue G, Yabe I, Watanabe O, Nishizawa M, Kusunoki S, Kikuchi S, Nakashima I, Ikeda S, Kohara N, Kanda T, Kira J, Hanaoka , Kuwabara S; J-POST Trial study investigators. Japanese POEMS syndrome with Thalidomide (J-POST) Trial: study protocol for a phase II/III multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled trial. *BMJ Open*. 2015 Jan 8;5(1):e007330. doi: 10.1136/bmjopen-2014-007330. PubMed PMID: 25573527; PubMed Central PMCID: PMC4289734.
2. Yokouchi H, Baba T, Misawa S, Sawai S, Beppu M, Kitahashi M, Oshitari T, Kuwabara S, Yamamoto S. Correlation between serum level of vascular endothelial growth factor and subfoveal choroidal thickness in patients with POEMS syndrome. *Graefes Arch Clin Exp Ophthalmol*. 2014 Nov 4. [Epub ahead of print] PubMed PMID: 25367833.
3. 桑原聡、三澤園子. 末梢性脱髄疾患 慢性型脱髄性ニューロパチー Crow-Fukase症候群. 別冊日本臨床 新領域別症候群シリーズ. 2014, No. 27 856-859.
4. 桑原聡、三澤園子. 血液疾患 血漿タンパクの異常 POEMS症候群. 別冊日本臨床 新領域別症候群シリーズ. 2014, No. 30 499-502.
5. 桑原聡. 多発性骨髄腫Updating 第6巻:ALアミロイドーシス, 多発性骨髄種の類縁疾患. 医薬ジャーナル社. 2014;182-186
6. 桑原聡. 多発性骨髄腫Updating 第6巻:ALアミロイドーシス, 多発性骨髄種の類縁疾患. 医薬ジャーナル社 2014;206-208.

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 北海道大学病院

研究者 矢部 一郎

研究期間 平成26年4月1日～平成27年3月31日

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、医薬品医療機器総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CRC 1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、長期継続試験を施行し終了した。特に有害事象がなく経過している。平成24年7月17日より継続投与試験を実施中である。現時点で重大な有害事象はみとめていないが、徐脈傾向にあり平成25年7月16日よりサリドマイド投与量100mg/日に半減し経過観察中である。

また、平成27年3月7日に膀胱腫瘍と他院泌尿器科で診断され、外科治療を行った。膀胱腫瘍については偶発症と判断した。

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、重大な有害事象は確認されていないが、徐脈傾向にありサリドマイド投与量を半減して投与している。

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 千葉大学医学部附属病院

研究者 桑原 聡

研究期間 平成26年4月1日～平成27年3月31日

研究分担者

千葉大学医学部附属病院	神経内科・助教	澁谷 和幹
千葉大学医学部附属病院	神経内科・医員	三津間 さつき
千葉大学医学部附属病院	神経内科・講師	三澤 園子
千葉大学医学部附属病院	神経内科・助教	関口 縁
千葉大学医学部附属病院	神経内科・医員	岩井 雄太
千葉大学医学部附属病院	神経内科・医員	渡辺 慶介
千葉大学医学部附属病院	臨床試験部・部長/教授	花岡 英紀

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。平成25年度に被験者登録期間が終了し、今年度は被験者観察を実施した。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を平成24年3月より開始した。

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) 前年度に引き続き治験を実施する。

3. 結果

【第II/III相試験】

1) 平成25年度に被験者登録期間が終了し、投与終了3例、中止1例であり、4名に対し治験薬の投与を実施した。

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 3月1日より継続治験を開始している。本年度は3例移行し、計7例に対し治験薬投与を継続している (全体として13例移行、うち3例中止)。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。昨年度被験者登録期間を終え、治験期間中の症例確保のための活動 (学術誌、インターネット、地方会・同門会での周知) を精力的に実施することにより、目標症例数を満了することが可能となった。

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も実施している。

6. 研究発表

(1) Katayama K, Misawa S, Sato Y, Sobue G, Yabe I, Watanabe O, Nishizawa M, Kusunoki S, Kikuchi S, Nakashima I, Ikeda S, Kohara N, Kanda T, Kira J, Hanaoka , Kuwabara S; J-POST Trial study investigators. Japanese POEMS syndrome with Thalidomide (J-POST) Trial: study protocol for a phase II/III multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled trial. BMJ Open. 2015 Jan

8;5(1):e007330. doi: 10.1136/bmjopen-2014-007330. PubMed PMID: 25573527; PubMed Central PMCID: PMC4289734.

(2) Yokouchi H, Baba T, Misawa S, Sawai S, Beppu M, Kitahashi M, Oshitari T, Kuwabara S, Yamamoto S. Correlation between serum level of vascular endothelial growth factor and subfoveal choroidal thickness in patients with POEMS syndrome. Graefes Arch Clin Exp Ophthalmol. 2014 Nov 4. [Epub ahead of print] PubMed PMID: 25367833.

(3) 桑原聡、三澤園子. 末梢性脱髄疾患 慢性型脱髄性ニューロパチー Crow-Fukase症候群. 別冊日本臨床 新領域別症候群シリーズ. 2014, No. 27 856-859.

(4) 桑原聡、三澤園子. 血液疾患 血漿タンパクの異常 POEMS症候群. 別冊日本臨床 新領域別症候群シリーズ. 2014, No. 30 499-502.

(5) 桑原聡. 多発性骨髄腫Updating 第6巻:ALアミロイドーシス, 多発性骨髄種の類縁疾患. 医薬ジャーナル社. 2014;182-186

(6) 桑原聡. 多発性骨髄腫Updating 第6巻:ALアミロイドーシス, 多発性骨髄種の類縁疾患. 医薬ジャーナル社. 2014;206-208.

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 新潟大学医歯学総合病院

研究者 西澤正豊

研究期間 平成26年4月1日～平成27年3月31日

研究分担者

- (1) 新潟大学医歯学総合病院・河内泉
- (2) 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。平成25年度に被験者登録期間が終了し、今年度は被験者観察を実施した。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を平成24年3月より開始した。

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) 前年度に引き続き治験を実施する。

3. 結果

【第II/III相試験】

1) 平成25年度に被験者登録期間が終了し、被験者観察のみを実施した。

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3月1日より継続治験を開始している。(第II/III相試験より1例の患者が移行し、治験実施中である。) 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。昨年度被験者登録期間を終え、治験期間中の症例確保のための活動(学術誌、インターネット、地方会・同門会での周知)を精力的に実施することにより、目標症例数を満了することが可能となった。

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も実施している。

6. 研究発表

該当なし

7. その他

治験の実施に関する研究 [サリドマイド]

所 属 近畿大学医学部附属病院

研究者 楠 進

研究期間 平成26年4月1日～平成27年3月31日

研究分担者

三井 良之	近畿大学医学部	神経内科
宮本 勝一	近畿大学医学部	神経内科
西郷 和真	近畿大学医学部	神経内科
高田 和男	近畿大学医学部	神経内科
鈴木 秀和	近畿大学医学部	神経内科

研究趣旨

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。一名の患者エントリー後も精力的に患者リクルートを行ったが、新たなエントリーはなく、稀少疾病であり症例登録期間終了となったため、組み入れ終了となった。

第II/III相試験終了後、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」を実施予定である。

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行っている。

2. 方法

【第II/III相】

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 (実薬) 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) 前年度に引き続き治験を実施する。

3. 結果

【第II/III相試験】

1) 平成25年12月27日に1名をエントリーし、治験を開始した。治験実施計画書およびGCPを遵守し、被験者の安全性も問題なく、適切に実施中である。

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】

1) 該当症例がいなかったため、平成26年度は実施しなかった。平成27年度より実施予定である。

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。1例組入れ後も積極的な患者リクルートを実施したが、稀少疾病のため参加基準を満たす患者がおらず、エントリーには至らなかった。

5. 結論

現在「第II相/第III相試験」に参加中の被験者は平成27年度に治験終了となり、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「継続投与試験」へ移行となる。今後も現在参加中の被験者について安全管理を徹底し、治験実施計画書およびGCP等を遵守し、適切に治験を実施することが必要である。

6. 研究発表

論文タイトル

Japanese POEMS syndrome with Thalidomide (J-POST) Trial: study protocol for a phase II/III multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled trial.

刊行年月日

2015年1月8日

発表誌名
BMJ Open

巻号数・頁数
5号・e007330

7. その他
特になし