

デュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療薬開発に関する FDA ガイダンスに関する研究

研究分担者 米本 直裕¹⁾

研究要旨

2015 年 6 月に米国 FDA から刊行されたデュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療薬開発に関するガイダンスに関して分析を行い、本邦における治療薬開発への適応について検討を行った。規制当局の立場から企業が治療薬開発において検討すべきポイント、リストを提示されていた。本邦での臨床試験のみならず臨床研究を行う上でも参考となるものであった。

A. 研究目的

米国 FDA のデュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療薬開発に関するガイダンスに関して分析を行い、本邦における治療薬開発への適応について検討を行う。

B. 研究方法

FDA ガイダンスの各項目について、臨床研究としての課題、わが国での適応可能性について検討した。

(倫理面への配慮)

本研究は文献研究である。

C. 研究結果

2015 年 6 月に米国 FDA から刊行されたデュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療薬開発に関するガイダンス

(Duchenne Muscular Dystrophy and Related

Dystrophinopathies: Developing Drugs for Treatment

Guidance for Industry) は企業の開発者向けに、規制

当局(米国 FDA)が治療薬の開発方針について示したも

のであり、ドラフト版 13 ページである。1.イントロダクション、

2.背景、3.開発プログラム、の 3 章があり、3.開発プログラ

ムは、A. 一般的な事項、B. 有効性試験に関する特定の

事項、C. その他 にわかれる。

A. 一般的な事項 では、臨床開発の早期段階での課題、

開発の対象者の選択、有効性、安全性の評価における

課題について記載されていた。

B. 有効性試験に関する特定の事項 では、1. 研究デザイン、特にランダム化比較試験、適切な対照群の設定について、2. 研究の対象集団、特に適切な対象集団設定とバイオマーカーについて、3. 有効性エンドポイント、特に複数のエンドポイントの設定に患者報告アウトカム (Patient Reported Outcomes)、小児での年齢に応じた検査について、4. 研究手順と評価時期 5. エンドポイントの判定、特にブラインドについて、6. 統計学的考察、7. 迅速承認(Subpart H)の考察、8. ベネフィットとリスク が記載されていた。

C. その他 では、非臨床と安全性、薬物動態、結果の外挿、一般化可能性について記載されていた。

D. 考察

本ガイダンスは、わが国での企業主導の治験(臨床試験)のみならず、医師および研究者主導の臨床研究にも示唆に富むものであった。特に、開発を特定の対象者に限定することは、有効性を示すには有用かもしれないが、一般化可能性に課題を残すかもしれないこと、有効性、安全性の指標において複数のエンドポイントを設定する場合、多重比較などの解析上の問題、エンドポイントの客観性、妥当性について検討する必要があること、安全性評価委員会の設置、児の発達にあわせた評価、評価時期の検討が必要であること、は今後行われる研究の計画で考慮すべき点であると考えられる。

E. 結論

本ガイダンスは、規制当局の立場から企業が治療薬開発において検討すべきポイント、リストを提示したものであったが、わが国での臨床試験のみならず臨床研究を行う上で考慮すべき事項が記載されていた。

1) 国立精神・神経医療研究センター 精神保健研究所 精神薬理研究部

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

1. 論文発表

なし

2. 学会発表

なし

H. 知的財産権の出願・登録状況

1. 特許取得

なし

2. 実用新案登録

なし

3. その他

なし