

A社と、本研究班班員（井原、松尾、小崎）とのWEB面談

2022年2月1日 13:00～14:00

Zoom ミーティング

<https://us02web.zoom.us/j/87155081956>

〔ミーティング ID〕 871

5508 1956

〔パスコード〕 bx=2#yt*+M

A社からの質問事項

【Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome(HGPS)に関するご質問】

- 1) 現在、研究班で把握されている（日本で生存中の）患者数および施設・医師名について
 - ・現時点で先生の知る限りHGPSおよびPLの患者はそれぞれ何人おりますでしょうか？
 - ・患者調査が必要と会社が判断した場合、研究班のご協力をお願いできますか？

- 2) 毎年の新患の患者数および発生時の把握方法等について
 - ・もしかしたらHGPSかもしれないとご両親や担当医師などが気付くのは、お子さんが何歳頃でどのような症状がそのきっかけとなるのでしょうか？
 - ・最も早く発現する症状は何でしょうか？
 - ・新しくお子さんをもったご両親やお子様の定期健診を行う小児科医（クリニック）のHGPSへの認知度はいかがでしょうか？

- ・確定診断は DNA 検査となるのでしょうか？

3) 研究班について

- ・国内の早老症には HGPS やウエルナー症候群などありますが、研究班ではそれぞれの疾患ごとに分担されていらっしゃるのでしょうか？
- ・HGPS のご専門は先生以外にどなたがいらっしゃいますか？

4) 日本での臨床試験実施の可否について (FDA 評価データパッケージをベースに)

- ・現時点で治験に積み込める患者数(予測)について
(国際共同治験と同様、生後 12 ヶ月以降、心・肝・腎等の重篤例を除く等)
- ・当局から日本での治験を求められた場合の評価エンドポイントについて
 - ⇒本剤による多くの副作用発現が確認されていますが、仮に 2~3 例しか適切な患者がいなかった場合、日本で数例の臨床試験を行う意義はいかがでしょうか？
 - ⇒臨床検査値の変動が多く認められていますが、採血してモニタリングすることができますか？
 - ⇒なんらかの有効性を見るとしたら何を指標にしたらいいのでしょうか？
- ・患者 (保護者) 同意についてハードルとなることはありますか？
- ・疾患由来の有害事象と同様、本剤はかなり副作用が多いですが、他に治療薬がないことから継続服用への期待は高いと考えてよろしいのでしょうか？
(海外治験では脱落例が少ない)
- ・疾患の特性から医師主導治験も選択肢として考えられますが、その実行可能性はいかがでしょうか？
- ・もし医師主導治験を選択した場合、治験責任医師をお引き受けいただけますでしょうか (もちろんその場合には CRO 含めて全面的に支援すること前提と考えています)？
- ・過去の患者のヒストリカルデータ (例、生後から死亡までの経時的症状等の変化) はございますでしょうか？
- ・臨床試験ができないとすればその理由について何が考えられますか？
- ・最終的な落としどころとして、「2~3 例程度での臨床試験を実施し、半年間の安全性をまとめて申請し、治験薬投与は継続、審査時までの期間の安全性データを追加。その後、新発売まで治験薬投与を継続する。あとは全例による市販後安全性調査を実施」を提案することを考えていますが、これに対する当局の反応 (可能性) についていかがお考えでしょうか？

5) Eiger 社は Zokinvy の国際臨床試験における日本人の患者のデータは提供できない (権利がない) と言っているが、データ入手の方策について

- ・何がその根本的な理由で、またその解決策はありますでしょうか？
- ・日本人以外にアジア人のデータもあるようですが、そのデータの部分集団解析は有益でしょうか？

6) その他

- ・学会、研究班（あるいは早老症全体の患者会？）等から迅速審査要望書を当局に提出していただくことの可能性はございますでしょうか？

以上