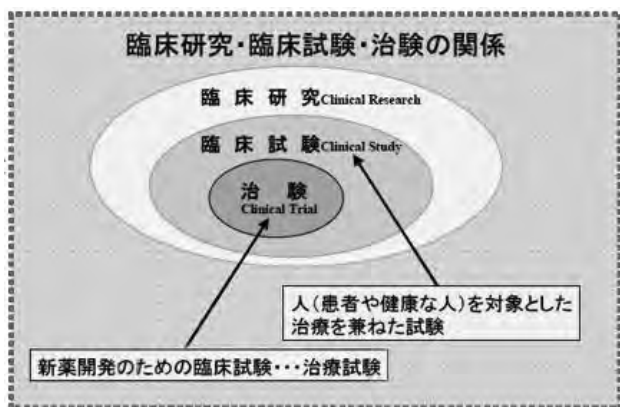


国立保健医療科学院 (NIPH) が運営している臨床研究情報ポータルサイト (<https://rctportal.niph.go.jp/>) で得られた ALS 関連の臨床研究・臨床試験・治験の情報と当協会に先生方から寄せられた情報を整理して、これから行われる予定の臨床研究の概要を示します。分かり易さを優先している為、厳密性には欠けますが、全体的に把握するには十分と思います。それぞれの詳細は分かり次第に協会ホームページ等でお知らせします。

なお、「臨床研究」「臨床試験」「治験」の関係は下図<sup>(1)</sup>のようになっています。



## 1. ペランパネル(フィコンパ)

### の医師主導治験第Ⅱ相治験<sup>(2)</sup>

試験名は「孤発性筋萎縮性側索硬化症を対象とした E2007 (perampanel) の多施設共同、二重盲検<sup>(5)</sup>、無作為化、プラセボ対照、並行群間比較試験」です。予定人数は 60 名、投与開始時から投与終了時まで 48 週間の ALS 機能評価スケール (ALSFRS-R) の変化量が評価されます。

一次登録の参加基準は、同意取得日に 40 歳以上 78 歳以下の方、診断基準に則って ALS 確実・ALS 可能性が高い、呼吸障害がない、同意取得時点で発症より 2 年以内、治療期間中は外来通院が可能、となっています(ほか、除外基準がいくつかあります)。二次登録の参加基準は、一次登録基準に加えて、12 週間の前観察期間中の進行状況が一定の範囲にあること(あまり進行しても、逆に進行しなく

ても二次登録には進めません)が前提となり、二次登録された被験者の方に実薬あるいはプラセボ(偽薬)が投与されます。

治験調整医師は東京医科大学病院・相澤仁志先生、試験実施施設は東京医科大学病院をはじめとして全国で 12 施設となる予定です。本年 4 月下旬以降、各施設での準備が整い次第、順次、治験が開始されます。

なお、東京医科大学病院では 4 月下旬に被験者募集を開始する予定ということです。

参照：東京医科大学神経内科ホームページ

<http://team.tokyo-med.ac.jp/shinkeinaika/clinical/index.html>

## 2. メチルコバラミン/メコバラミン

### (製品名メチコバル)の医師主導治験

AMED<sup>(3)</sup>の希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究医師主導治験(ステップ2)に「大量メチルコバラミン筋注による ALS の治療薬開発研究」が採択されました。概略を以下に紹介します。

第Ⅲ相<sup>(2)</sup>の医師主導試験として 6 月頃に募集を開始し、期間は観察 3 か月と試験 4 か月の計 7 か月間、人数 100 名、対象年齢 20 歳以上で実施される予定です。

主な参加基準は、観察開始時において発症より 1 年以内、治療期間中は外来通院が可能、症状の進行によって通院が不可能になった場合は電話聴取が可能であること等です。主な除外基準は、気管切開をしている、非侵襲的呼吸補助療法をしたことがある、%FVC<sup>(4)</sup>が 60% 以下などです(ほかにも除外基準がいくつかあります)。

実施責任組織は徳島大学病院(梶龍兒先生)で、全国 14 施設で試験が実施される予定です。

なお、先だって行われた第Ⅱ相試験では、部分解析ながら、発症早期(1年から1年半)に治療を開始すれば、600 日以上(延命効果(呼吸筋麻痺までの期間延長)が得られており、治験に参加すれば、その後認可まで継続供給がなされるということです。



### 3. BMI (ブレイン・マシン・インターフェース) の臨床研究

研究名は「ワイヤレス体内埋込型ブレイン・マシン・インターフェースによる運動機能・意思伝達機能再建装置の臨床研究」です。

ワイヤレス体内埋込装置を長期間(1年間、希望があれば延長)埋め込んで、装置が安全で意思伝達やロボットアーム操作に有用かどうかを確かめる研究です。研究実施施設は大阪大学医学部附属病院で、平成29年度末に開始して3年間の期間を予定し、参加者数は3名の予定ということです。

大阪大学国際医工情報センターの平田雅之教授から「まずは装置が安全であることを確かめるとともに、患者さんのご意見をお聞きしながら役に立つ装置にしていきたいと思います。」とコメントをいただきました。

### 4. 肝細胞増殖因子 (HGF) の第II相試験 (医師主導治験)

試験名は「筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 患者を対象としてNP022を用いてKP-100ITを脊髄腔内投与することによる有効性および安全性を検証するプラセボを対照とした二重盲検<sup>(\*)</sup>期および非盲検継続投与期からなる第II相試験」です。

参加者を募集中で予定人数は48名、対象年齢は20歳以上70歳以下です。

詳細は東北大学および大阪大学神経内科のホームページでご確認ください。

なお、照会・問い合わせは主治医の先生を通してFAXでのみ受けつけることになっています。

参考：東北大学・大阪大学プレスリリースのURL  
<https://www.tohoku.ac.jp/japanese/2016/05/press20160513-02.html>

### 5. アデノ随伴ウィルス (AAV) を用いた遺伝子治療

試験名は「孤発性ALS (筋萎縮性側索硬化症) の病因に基づく遺伝子治療」です。株式会社遺伝子治療

研究所ホームページのパイプラインでは薬事法承認手続きの予定として2017年に前臨床試験(動物による有効性・安全性の確認試験)承認手続き、2018年に第I・II相臨床試験の承認手続きとなっています。

詳細：株式会社遺伝子治療研究所ホームページ  
<https://www.genetherapy-ri.com/>

### 6. 家族性ALS-iPS細胞を用いたハイコンテンツスクリーニングによるALS治療薬創出

当協会のIBC(アイス・バケツ・チャレンジ)グラント研究奨励の成果報告資料を要約すると以下のようになります。

iPS細胞から患者由来の運動ニューロンを作成する技術開発に成功しALSに共通した特徴的な症状をシャーレで再現できた。慶應大学で保管している既存薬1,500種類をこのiPS細胞でスクリーニングしてALSの症状を抑えることのできる治療薬候補として有望なもの9種類に絞った。最終的には1つの既存薬に絞り、ALSへの適応拡大を目的とした当該薬剤の臨床試験を行うべく、2016年5月にPMDA事前面談を実施している。

### 7. その他

臨床研究/試験・治験の具体的な問い合わせはそれぞれの窓口にお寄せ下さい。また、参加を希望する場合は、通常は主治医の先生を通して申し込むこととなりますので、主治医の先生とよく相談をするようにしてください。

\*1 福井大学医学部付属病院治験管理センターニュ Vol.3No.3 (平成16年12月)より。

\*2 治験の進行段階は一般に以下で現されます。  
第I相試験：「薬の候補物質」の安全性について調べます。  
第II相試験：少数の患者で、有効性、安全性、使い方(投与量・方法など)を調べます。  
第III相試験：第II相試験で得られた結果に基づき実際の治療に近い形で行う。

\*3 国立研究開発法人日本医療研究開発機構

\*4 肺機能の尺度、およその目安で80%以上はほぼ正常、60%以下は呼吸不全が進行した状態と言われています。

\*5 医師と患者の双方が内容を知り得ない状況で行う試験。