

TREAT-NMDは、神経筋疾患の新しい治療法開発を目指し、欧州の研究者らが運営するネットワークです(<http://www.treat-nmd.eu/about/network/>)。

以下の文章はTREAT-NMDのインターネットホームページ内(<http://www.treat-nmd.eu/dmd/clinical-research/company-faqs/>) の和訳です。

治験：製薬会社が皆様の質問に答えます。

世界中の患者様やそのご家族は神経筋疾患の治験が行われていることを知っています。そして多くの方がどうしたら治験に参加できるのだろうかと考えています。さまざまな治験の違いは何か、どこで行われているのか、どんな人が参加できるのかを調べるのは難しいことがあります。TREAT-NMD では日ごろから、治験のことを知った患者様やそのご家族から参加できるかどうかを知りたいというお問い合わせを受けます。そこで TREAT-NMD ではこれらの治験を実施している製薬会社に質問に答えてもらうことにしました。

まず、製薬会社のグラクソ・スミスクライン（GSK）に質問を送り、その回答をここに掲載しました。GSK が実施しているデュシャンヌ型筋ジストロフィー（DMD）の治験について患者様やそのご家族の疑問が解消されることを望んでいます。将来、DMD や他の神経筋疾患の治験にかかわる他の製薬会社にも同様の質問をする予定です。

治験に参加するかどうかを決める前に理解しなければならないことがたくさんあります。[ここ](#)では臨床研究の原則の一部を知ることができます。

GSK の回答に対するコメントや他社への質問がありましたら、TREAT-NMD まで電子メール (info@treat-nmd.eu) をお送りください。

GSK が皆様の質問に答えます。

パート 1：一般的な質問

TREAT-NMD は GSK に質問を送り、その回答をここに掲載しました。GSK が実施している DMD の治験について患者様やそのご家族の疑問が解消されることを望んでいます。

TREAT-NMD の目的は、神経筋疾患に関心を持つ会社が治験を実施しやすくすることです。どの会社とも独占的な関係はなく、治験を承認する機関でもなく、神経筋疾患の治療に関心を持つ会社および研究者は誰でも TREAT-NMD のサービスを利用することができます。また、患者様やそのご家族が、実施中の治験についてできる限り多くの情報を入手できる

ようにし、詳細な情報を得た上で判断できることが非常に重要だと考えています。

治験に参加するかどうかを決める前に理解しなければならないことがたくさんあります。

[ここ](#)では臨床研究の原則の一部を知ることができます。

GSK の回答に対するコメントやさらに質問がありましたら、TREAT-NMD まで電子メール (info@treat-nmd.eu) をお送りください。

以下に GSK の回答を掲載します。これらの回答は 2011 年 2 月 10 日に GSK によって更新されたものです。

1. GSK は現在 DMD についてどの治験を実施していますか?

GSK は現在、DMD を対象として GSK2402968 (GSK'968) という薬剤を検討する 3 つの治験を実施しています。

[TREAT-NMDの補注：これらの治験はすべて「エクソンスキッピング」という治療法を用いています。エクソンスキッピングについては [DMD研究の概要](#)の [突然変異特異的治療法の項](#)にさらに詳細に記載されています。

現在実施されている 3 試験は以下のとおりです。

DMD114044 試験：DMD患者を対象としたGSK2402968 の有効性および安全性を評価する第III相、無作為化、二重盲検、プラセボ対照試験 (www.clinicaltrials.govでこの試験を参照する場合は [ここ](#)をクリック)

この試験ではエクソン 51 スキップに応答するジストロフィン遺伝子変異のある 5 歳以上の歩行可能な DMD 男児患者に GSK'968 6mg/kg を週 1 回、48 週間投与したときの有効性および安全性をプラセボと比較します。

DMD114117 試験：歩行可能なDMD患者を対象としたGSK2402968 の第II相、二重盲検、探索試験 (www.clinicaltrials.govでこの試験を参照する場合は [ここ](#)をクリック)

この試験ではエクソン 51 スキップに応答するジストロフィン遺伝子変異のある 5 歳以上の歩行可能な DMD 男児患者に GSK'968 を 2 つの異なる投与方法で 48 週間投与したときの有効性および安全性を評価します。

DMD114118 試験：歩行不能なDMD患者を対象とした薬物動態、安全性、忍容性を評価する第I相、二重盲検、漸増、無作為化、プラセボ対照試験 (www.clinicaltrials.govでこの試

験を参照する場合は [ここ](#) をクリック)

この試験ではエクソン 51 スキップに応答するジストロフィン遺伝子変異のある歩行不能な DMD 男児患者に GSK'968 を単回漸増投与したときの薬物動態、安全性、および忍容性を評価します。

3 試験の選択・除外基準、各試験の評価項目ならびに治験実施施設は www.clinicaltrials.gov に掲載されています。

2. GSK はさらに DMD の治験を実施する計画はありますか?

上記のように、GSK は現在、エクソン 51 スキップに応答するジストロフィン遺伝子変異のある DMD 男児患者を対象として GSK2402968 (GSK'968) を評価する 3 試験を実施しています。GSK'968 を用いてさらに他の治験を実施する場合は治験実施計画書がまとまり次第、詳細を発表します。

GSK は、オランダのバイオ医薬品企業で、DMD の治療薬の開発に焦点を当てている Prosensa 社から GSK'968 (旧 PRO-051) のライセンスを導入しました。Prosensa 社は DMD エクソン・スキッピングプログラムの一環として別のエクソンを標的とする新薬の開発を続けています。GSK は、「ブルーフオブコンセプト」試験の結果が良好であれば、別の DMD エクソンを標的とする RNA 様化合物をさらに 3 つ、Prosensa 社からライセンス導入する独占的契約を結んでいます。

3. GSK と Prosensa 社はどのような関係ですか?

2009 年 10 月、GSK と Prosensa 社は、DMD を対象とする RNA 様化合物の開発・販売について世界的独占的協力契約を結んだと発表しました。提携の範囲には、DMD 患者の異なる部分集団を対象とした RNA 様化合物の開発を目指す 4 つのプログラムが含まれます。

この契約によって、GSK は、ジストロフィン遺伝子のエクソン 51 をスキップすることによって治療できる DMD を対象とした Prosensa 社の主要化合物である PRO051 (現、GSK'968) を開発・販売する世界的独占的ライセンスを取得しました。GSK は Prosensa 社と協力して、この治験薬の臨床開発を進めています。さらに、GSK は、「ブルーフオブコンセプト」試験の結果が良好であれば、別の DMD エクソンを標的とする RNA 様化合物をさらに 3 つ Prosensa 社からライセンス導入する独占的契約を結んでいます。

GSK が皆様の質問に答えます。

パート 2 : 情報の入手先

4. GSK は「患者の家族向け」の情報または治験の概要をオンラインで提供していますか？

世界的には、GSKは www.clinicaltrials.gov のような登録サイトで実施中の治験に関する情報を提供しています。これらの登録サイトでは選択・除外基準とともに治験の目的および評価項目に関する主な科学的情報を提供しています。ご家族によって情報のニーズは異なりますので、もっとも良いのは担当医や治験責任医師に治験の詳細について相談することです。

5. GSK の治験に参加している治験実施施設やクリニックはどこで見つけれられますか？

GSKは、www.clinicaltrials.gov およびGSK社の治験登録サイトである www.gsk-clinicalstudyregister.com に治験の情報を掲載します。

治験に関する最新の情報を DMD 関連団体にお届けできるように、GSK は依頼に応じて DMD 支援団体または他の治験登録サイトにも治験情報を提供します。

6. 私が通っているクリニックが GSK の治験に参加すると聞きましたが GSK の治験登録サイトや clinicaltrials.gov には掲載されていません。どうしたら正確な情報かどうかを確認できますか？

治験実施国の規制当局および倫理委員会の承認が得られるまで、どの施設でも治験を開始することはできません。したがって必要なすべての承認が得られ、施設で患者様の募集を開始できるようになるまでGSKは www.clinicaltrials.gov や www.gsk-clinicalstudyregister.com に治験実施施設の詳細情報は掲載しません。そのためわずかに時間のずれが生じますが、掲載されている情報は正確です。

7. clinicaltrials.gov の情報が GSK の治験登録サイトの情報と同一でないのはなぜですか？

治験に関する情報は1つのシステムに入力され、その後これらの登録サイトに送られます。治験のおもな情報は同一ですが、www.gsk-clinicalstudyregister.comの方が治験実施施設の連絡先に関してより詳細な情報が掲載されることがあります。さらに、www.clinicaltrials.govでは新しいデータを公開する前にすべてのデータを確認するため、このサイトへの掲載時期がずれることがあります。

8. GSK は clinicaltrials.gov および GSK の治験登録サイトの治験に関する情報をどの段階で更新しますか？

www.clinicaltrials.gov および www.gsk-clinicalstudyregister.com にデータを送るデータベースは随時更新し、週1回データを送ります。www.clinicaltrials.gov の更新情報はすべて公開前に確認を受けなければなりませんが、通常、迅速に行われます。

9. GSK はいつ治験に参加する国を発表し、治験実施施設を決めますか？

どこの国で治験を実施する場合でも、治験を進めるためには実施する会社とその国の規制当局から承認を得なければなりません。国の承認が得られたら、あるいは規制当局への申請と並行して、各治験実施施設は治験に参加する前にその地域の規制当局および倫理委員会の承認を得なければなりません。必要な承認がすべて得られた時点でGSKは www.clinicaltrials.gov または www.gsk-clinicalstudyregister.com に参加国および治験実施施設に関する詳細情報を掲載します。

10. GSK はなぜ早く治験実施施設に関する情報を提供しないのですか？

治験実施施設が必要な承認をすべて取得し、患者様の募集を開始できることを確認するまで GSK は詳細情報を掲載しません。規制当局や倫理委員会からの問題提起により予定された施設が治験に参加できない可能性があるため、候補施設の情報を早く伝えることで皆様の落胆させる可能性があるからです。

GSK が皆様の質問に答えます。

パート 3：募集および国際的な状況

11. GSK はある国の対象患者数を調べるのに DMD 患者登録サイトを利用しますか？

患者登録およびデータベースのデータは治験への参加者の募集にとって非常に重要なツールで、治験責任医師はよく利用しています。これまで GSK は DMD 患者登録サイトと連携したことはありません。これまで Prosensa 社は登録システムを介し、プログラムのデザインおよび実施に重要な 2 つの予備調査報告書を依頼しました。

12. GSK は治験への参加者の募集に患者登録サイトを利用しますか？

治験への参加者の募集の責任は治験を実施する治験責任医師にあります。各治験責任医師は患者登録サイトを利用して適格な患者様を探すことがあります。

13. GSK が DMD の治験への参加国を決める際に何を考慮しますか？

GSK の基本的な目標は、薬剤の有効性および安全性に関する判断に役立つ高品質の臨床データを提出することです。したがって、ある国を DMD の治験に参加させるかどうかを決める際に考慮に入れる要素はたくさんあります。治験の評価を行うのに必要な機材や人材がそろっているか、適切な資格を有する医師がいるかどうか、また治験の選択基準を満たす患者様がいらっしゃるかなどです。治験に参加する国や施設の数に影響を与えるその他の要素としては、規制当局への手続きのスケジュールやその地域の GSK の知識や経験などです。

14. 治験に参加するために外国へ行ってもよいと考えています。そのような患者を受け入れるかどうかは GSK あるいは各治験実施施設が判断するのですか？

治験への参加者の募集の責任は治験を実施する治験責任医師にあります。治験への参加については、www.gsk-clinicalstudyregister.com に治験実施施設が掲載されたら適切な治験責任医師にお問い合わせください。

15. 外国で治験に参加する場合、GSK は旅費や最低生活費を支払ってくれますか？

GSK は治験を実施する治験責任医師の施設に資金を提供します。通常、治験実施施設は治験に参加する患者様に妥当な額の旅費をお支払いします。どの程度の旅費が妥当かを含めて治験への参加については適切な治験責任医師にお問い合わせください。

GSK が皆様の質問に答えます。

パート 4：治験の結果および薬剤の入手方法

16. 患者団体はどのようにして各治験の結果を知ることができますか？

GSK がスポンサーとなる研究の透明性に関する GSK の方針に従い、これらの治験の結果は適切な学会で発表し、また、検索可能で論文審査のある学術専門誌に投稿します。

17. 治験薬が効くかどうか、さらに開発を進めるかどうかを決めるのは誰ですか？

進行中の各治験では GSK'968 の効果を検討する評価項目があらかじめ決められています。これらの治験結果（中間解析を含む）は GSK の職能上の枠を超えたプロジェクトチームが検討し、ベネフィット・リスクプロファイルに基づいてさらに開発を進めるかどうかを判断します。必要に応じて、専門家の意見を聞き、データを分析、検討します。さらに、治験中は独立データモニタリング委員会（IDMC）が治験薬の安全性をモニターします。

18. 治験薬が有効と考えられる GSK の治験に参加し、GSK が製造承認申請を行う場合、自分の国で発売される前でも、治験終了後に治験薬の使用を続けることはできますか？

治験中に治験薬から測定可能な医学的効果が得られ、治験終了後も治験薬の投与を継続するための説得力のある医学的根拠がある患者様の場合、GSK は別の治験または Expanded Access Program（治験用新薬利用範囲拡大制度）を通じてその治験薬を提供できるように努力します。

第 II および III 相試験を完了し、継続試験の選択基準を満たす患者様は継続試験に参加することができます。無作為化、プラセボ対照試験を完了した患者様のために非盲検継続試

験が計画されています。継続試験の期間は最低 2 年間または GSK2402968 が市販されるまでのいずれか長い方です。施設または国が継続試験に参加するには規制当局および倫理委員会から承認を得る必要があります。

19. 治験薬が有効と考えられる GSK の治験に参加し、プラセボを投与されていた場合、治験薬に移行することはできますか？

第 II および III 相試験のあとに非盲検（実薬投与）継続試験を計画しています。無作為化、プラセボ対照試験を完了した患者様は元の治験の治療群にかかわらず、参加することができます。施設または国が継続試験に参加するには規制当局および倫理委員会から承認を得る必要があります。

20. 治験薬が有効と考えられ、GSK が承認申請を行う場合、次の段階は何ですか、治験に参加していなかった患者はいつ使用できるようになりますか？

進行中の治験の結果に基づいて、GSK が規制当局へ新薬承認申請を提出し、規制当局の承認が得られたとしても、治験薬がいつ発売されるかは予測できません。しかし、治験薬ができるだけ早く承認されるように治験の効率的かつ迅速な実施に資源を投入することが GSK の方針です。

21. GSK は治験デザインに患者の意見を取り入れますか？

治験デザインについては EMA、FDA^{注)} などの規制当局の合意を得なければなりません。さらに、GSK は必要に応じて、医師、患者様、患者団体などから臨床開発計画に対する意見を適宜求めます。

注) EMA は EU の規制当局、FDA は米国の規制当局です。日本の規制当局は PMDA（独立行政法人医薬品医療機器総合機構）です。

より広い意味では、病気に対する患者様のご認識や、それが患者様や介護者に与える影響を知ることによって、治験デザインの参考にするとともに、GSK は病気への理解を深め、患者様のニーズにもっともあう薬剤の開発を進めることができます。