

プレスリリース

成人の 赤芽球癆(せきがきゅうろう)に対する
シロリムスの多施設共同医師主導治験を開始

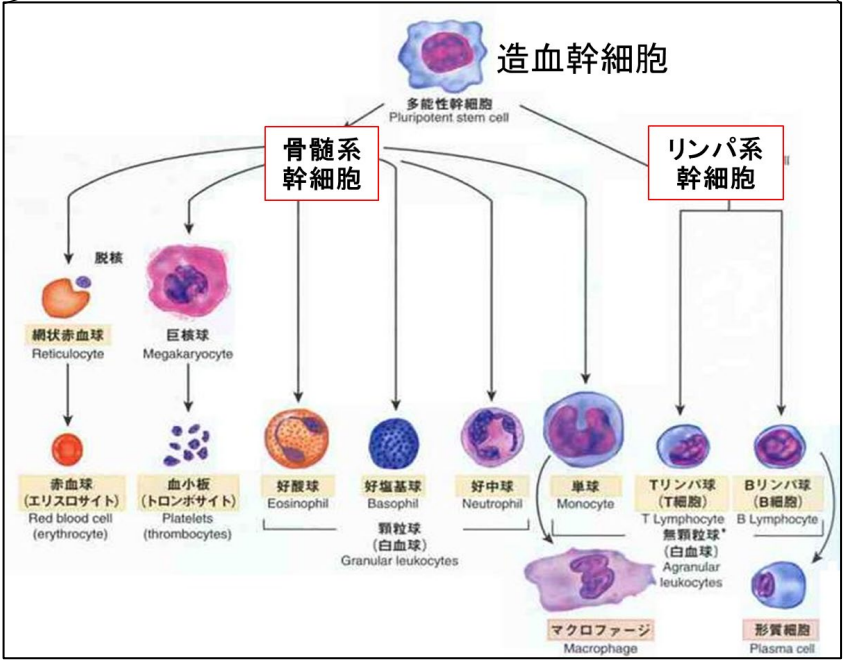
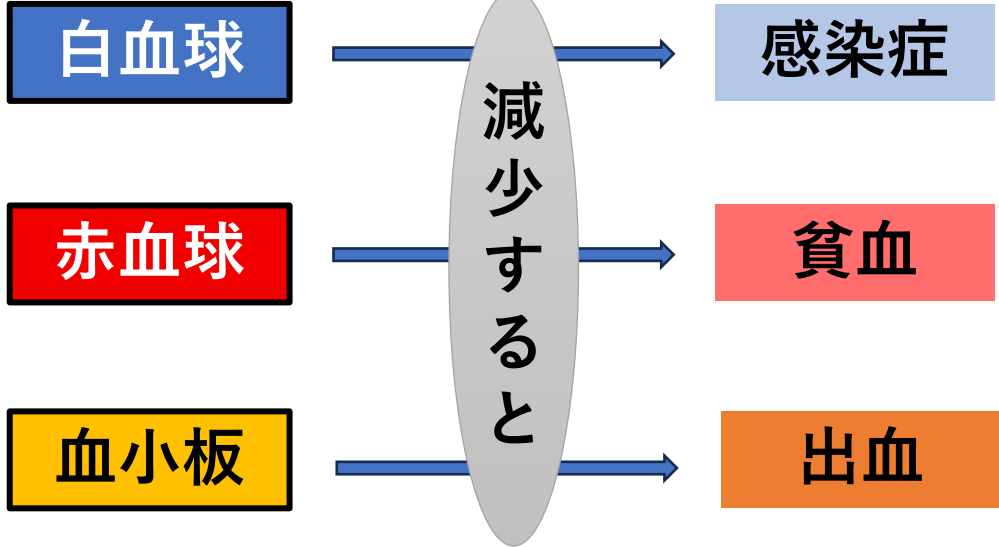
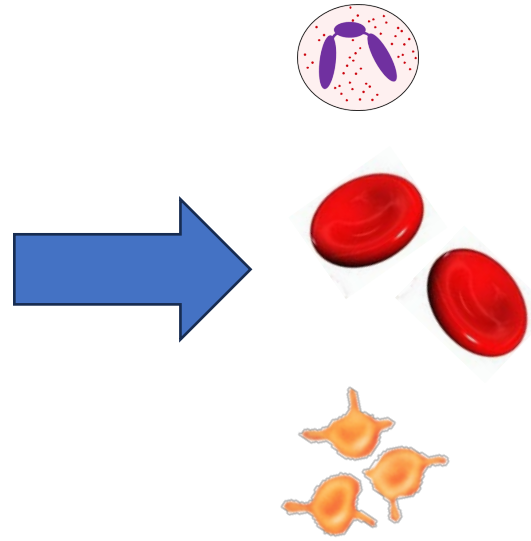
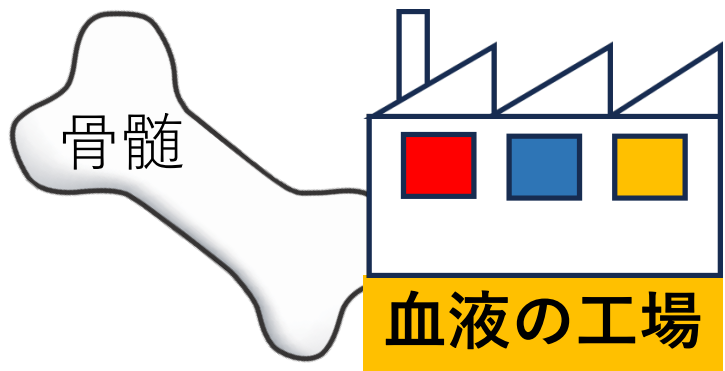
～30年ぶりの新たな内服治療の開発に全国から期待が集まる～

信州大学医学部附属病院
血液内科 中澤 英之

説明の概要

- 後天性慢性赤芽球癆(こうてんせい まんせい せきがきゅうろう)に対する新しい薬の候補であるシロリムスの医師主導治験を開始します
- 後天性慢性赤芽球癆は、重度の貧血を生じる、稀な難治性疾患(指定難病283)です
- 免疫抑制薬であるシクロスポリンが、現在、国内唯一の承認薬です
- シクロスポリンが効かなくなった場合の治療方法として、シロリムスに世界が注目し始めています
- 全国の血液疾患の専門施設と連携して実施します
- 全国に点在している、後天性慢性赤芽球癆の患者さん一人ひとりに、この臨床試験を届けるべく、インターネットによる遠隔診療(DCT)も併用します
- 本院臨床研究支援センター臨床研究支援部門による自施設での一貫した支援により、迅速な治験の実施、コストの削減を実現します

貧血 = 赤血球が減る状態

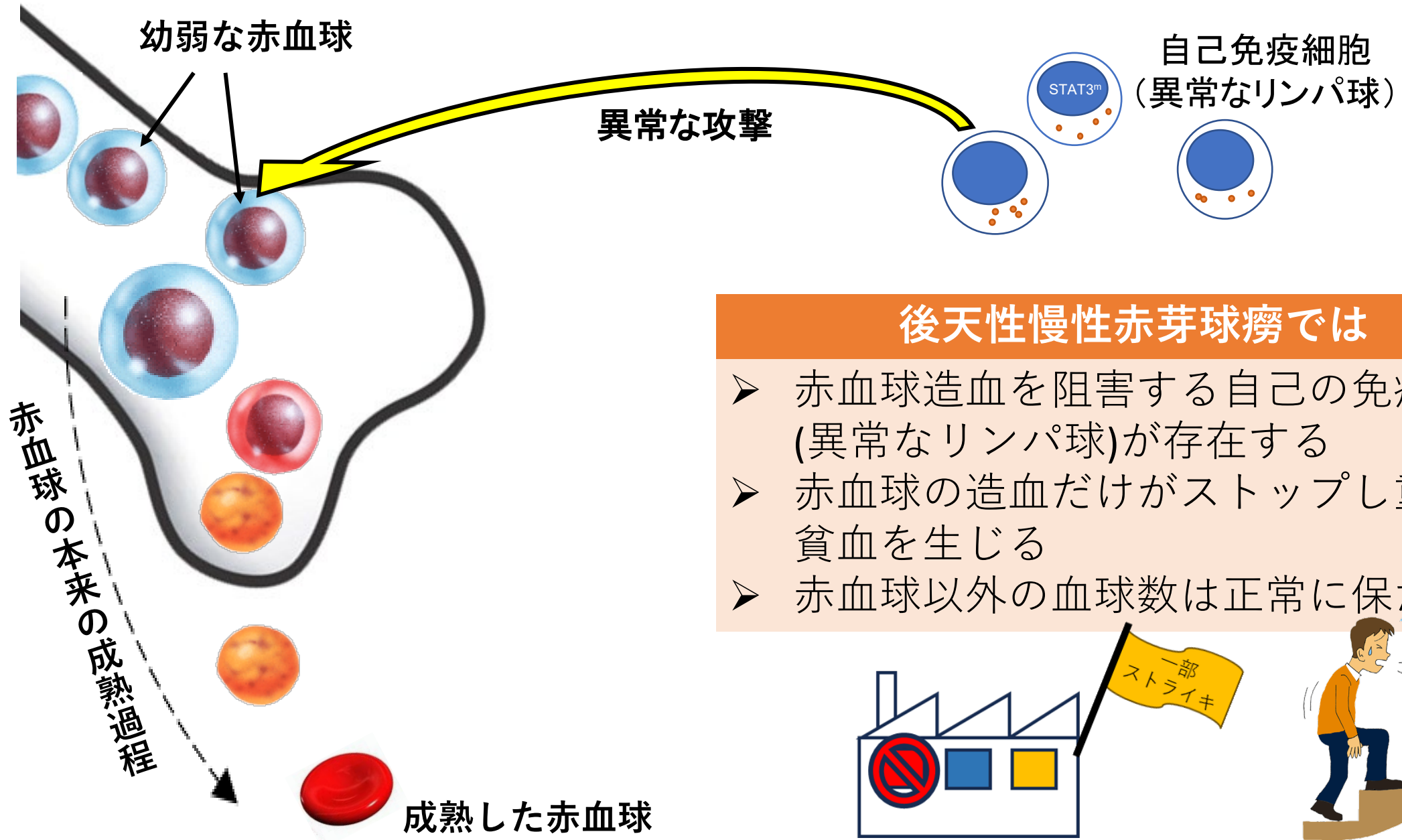


貧血：赤血球が減っている状態

貧血症状

- ✓ 動悸 (どうき)
- ✓ 息切れ
- ✓ 立ちくらみ
- ✓ 臓器障害

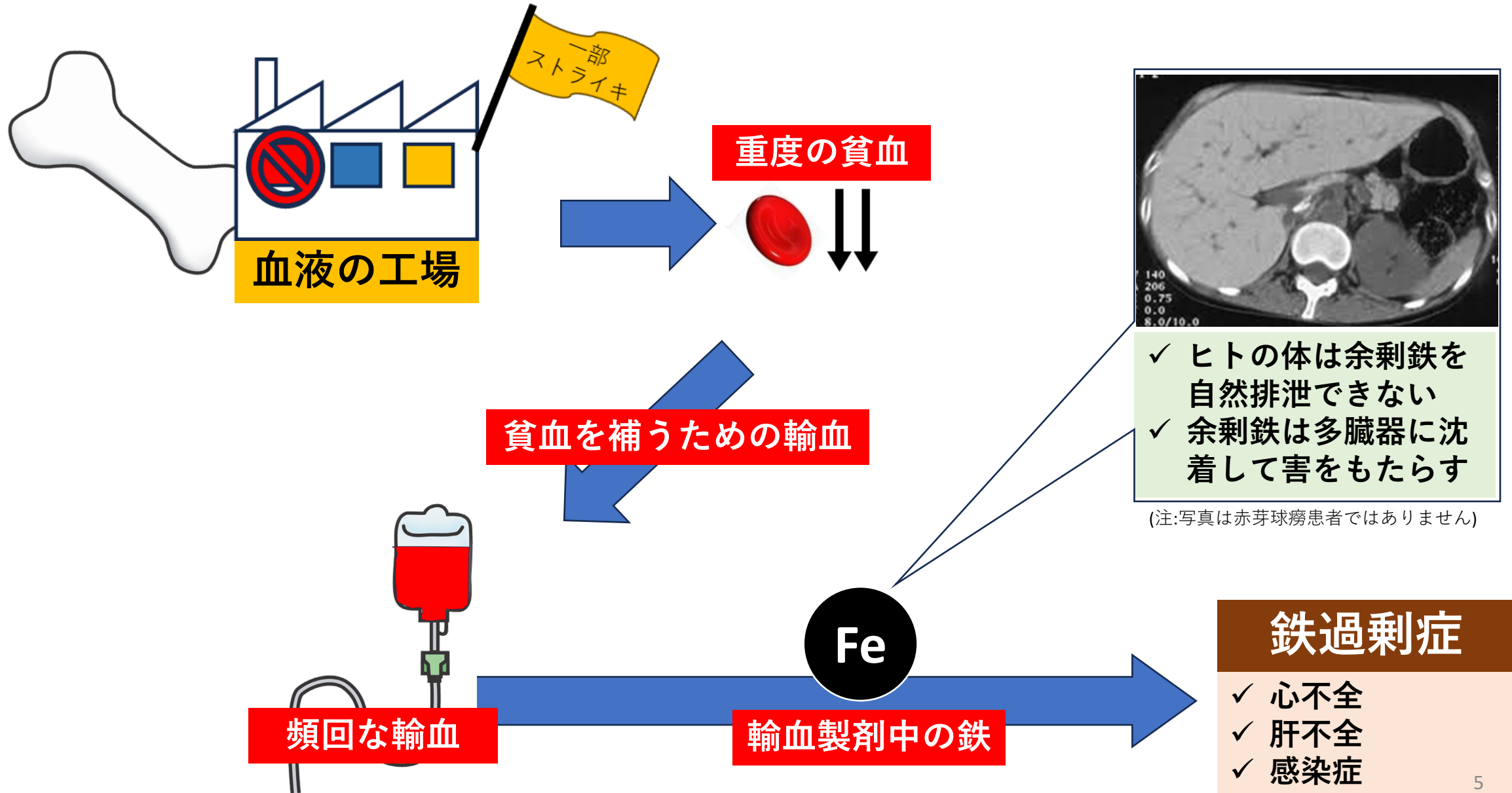
後天性慢性赤芽球癆で重度の貧血を生じるメカニズム



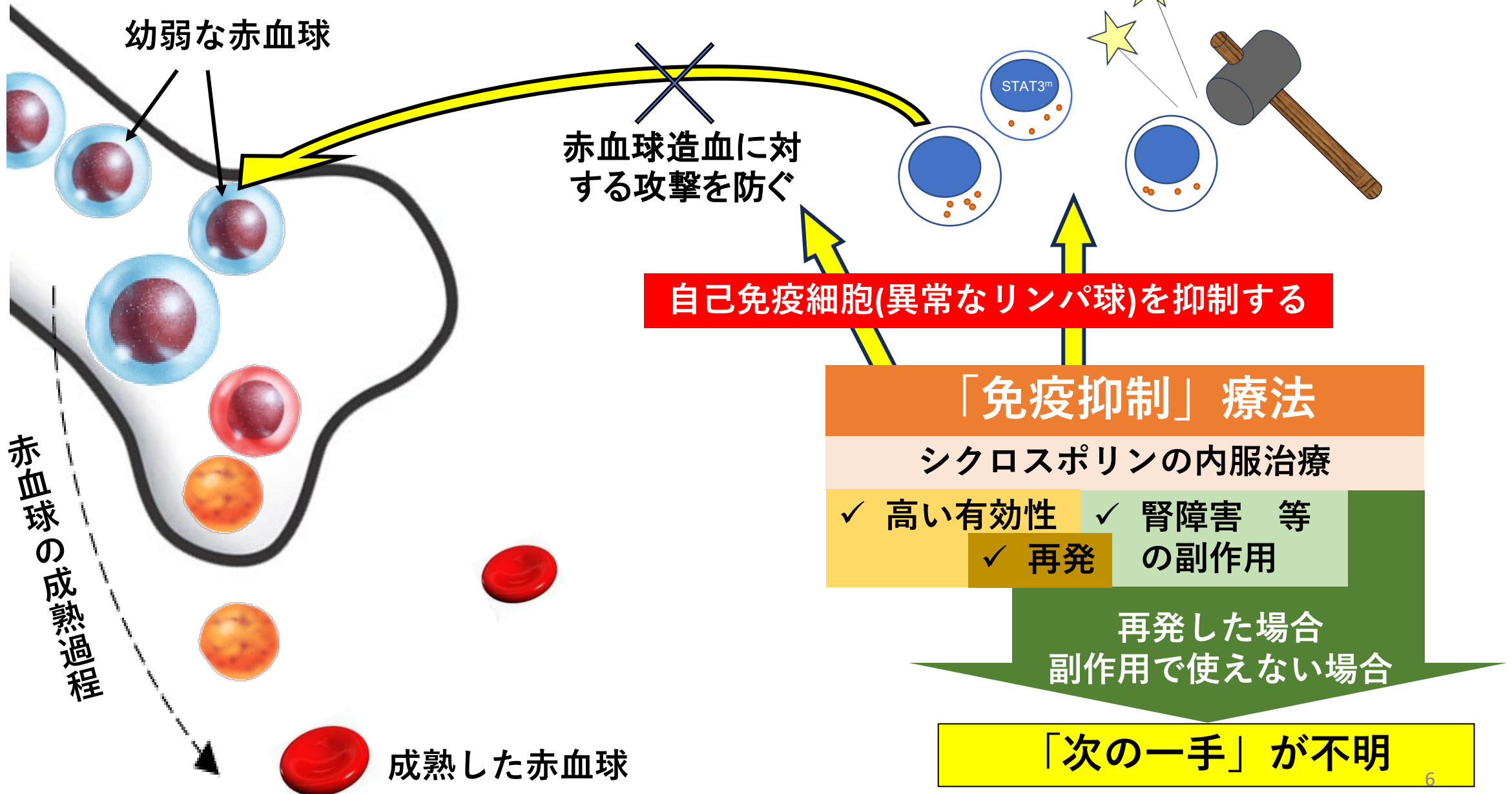
後天性慢性赤芽球癆では

- 赤血球造血を阻害する自己の免疫細胞 (異常なリンパ球)が存在する
- 赤血球の造血だけがストップし重度の貧血を生じる
- 赤血球以外の血球数は正常に保たれる

後天性慢性赤芽球癆では 頻回な輸血が必要になる

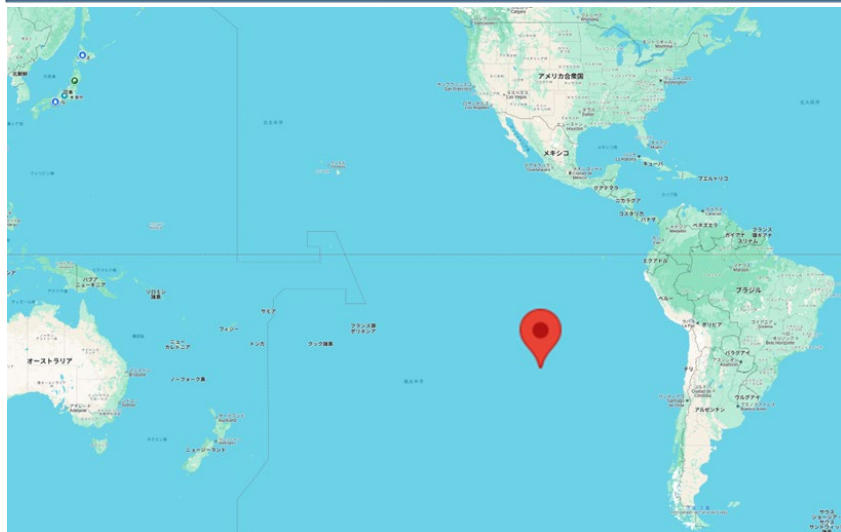


現在の免疫抑制療法とその限界



シロリムス と 後天性慢性赤芽球癆へ適応の可能性

シロリムス (別名: ラパリムス)



- イースター島(現地名: ラパ・ヌイ)の土壌の微生物から発見された化合物
- 細胞に存在するセリン・スレオニンキナーゼと呼ばれる酵素の一種であるmTOR(エムトール)に作用する薬剤
- mTORは細胞分裂や代謝に関与し、シロリムスは抗腫瘍薬や**免疫抑制薬**として様々な分野での開発が進んでいる



臓器移植

- 腎臓移植後の拒絶反応を抑制する効果がある
- 海外では**約20年前から免疫抑制薬**として使用されている

LAM

- リンパ脈管筋腫症(LAM)という稀な難治性の腫瘍に対して病勢抑制効果がある
- LAM等に国内でも承認されている

赤芽球癆での海外から報告

- 近年、海外の一部の病院でシクロスポリン不応の患者に投与
- 64例の患者さんに投与したところ、半年間で85%の患者で貧血改善
- 30%に副作用(いずれも非重篤)

シロリムスが後天性慢性赤芽球癆の新規薬剤になりうるかを医師主導治験で評価する

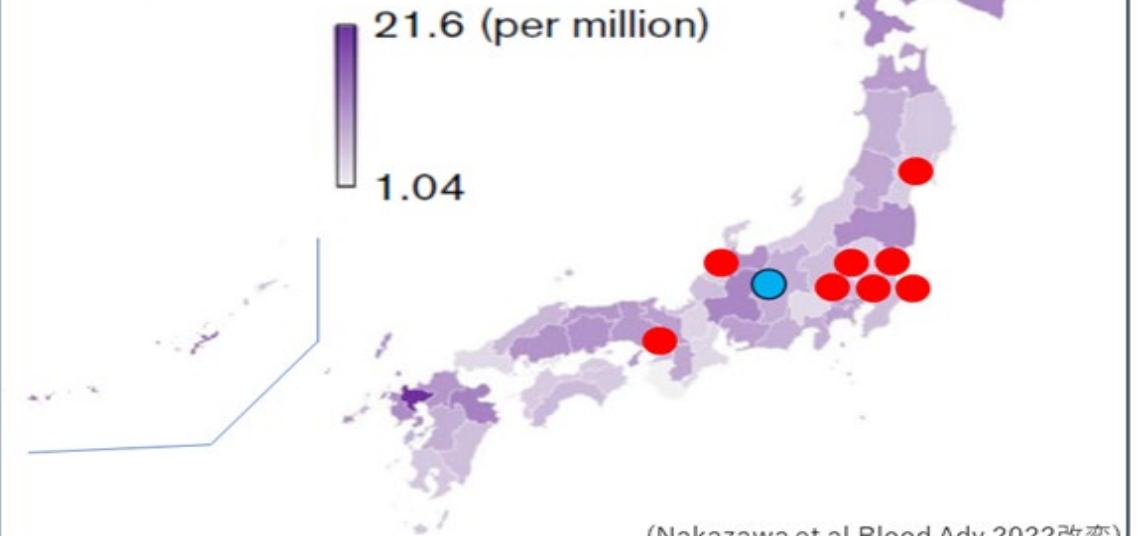
医師主導治験の概要 1

- 信州大学医学部 中澤 英之講師(研究代表者)、石田 文宏教授、松本和彦特任教授、東京大学医学部 黒川 峰夫教授、獨協医科大学 三谷 絹子特任教授、大阪大学医学部 保仙 直毅教授、植田 康敬助教らの研究グループは、後天性慢性赤芽球癆(こうてんせい まんせい せきがきゅうろう)の患者さんを対象とし、新しい治療薬の候補であるシロリムスを用いた医師主導治験を開始します
- 2024年9月30日に医薬品医療機器総合機構(PMDA)に治験計画届を提出し、2024年12月から患者さんの登録を開始します

□信州大学医学部附属病院、東北大学病院、獨協医科大学病院、東京大学医学部附属病院、NTT東日本関東病院、埼玉医科大学国際医療センター、金沢大学附属病院、国際医療福祉大学三田病院、大阪大学医学部附属病院(全国9実施医療機関)で実施される予定です

全国の専門施設が実施医療機関

Number of registered patients with PRCA per population in each prefecture

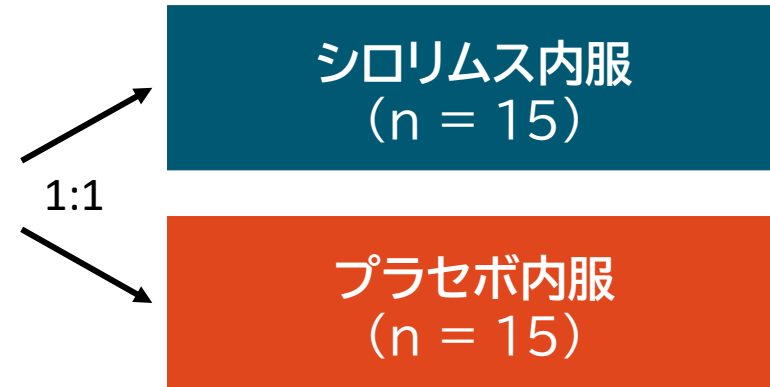


※本治験は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)難治性疾患実用化事業、ノーベルファーマ株式会社の支援により実施されます。

Sirolimus for PRCA relapse/refractory to cyclosporine A (SOARER-A) study (jRCT2031240482)

□ 国内・多施設・二重盲検比較＋非盲検単群試験（フェーズIII）

後天性慢性赤芽球癆と診断され
シクロスポリンに不応・不耐・再発した患者
Hb値 \leq 9g/dLの貧血
(N=30)



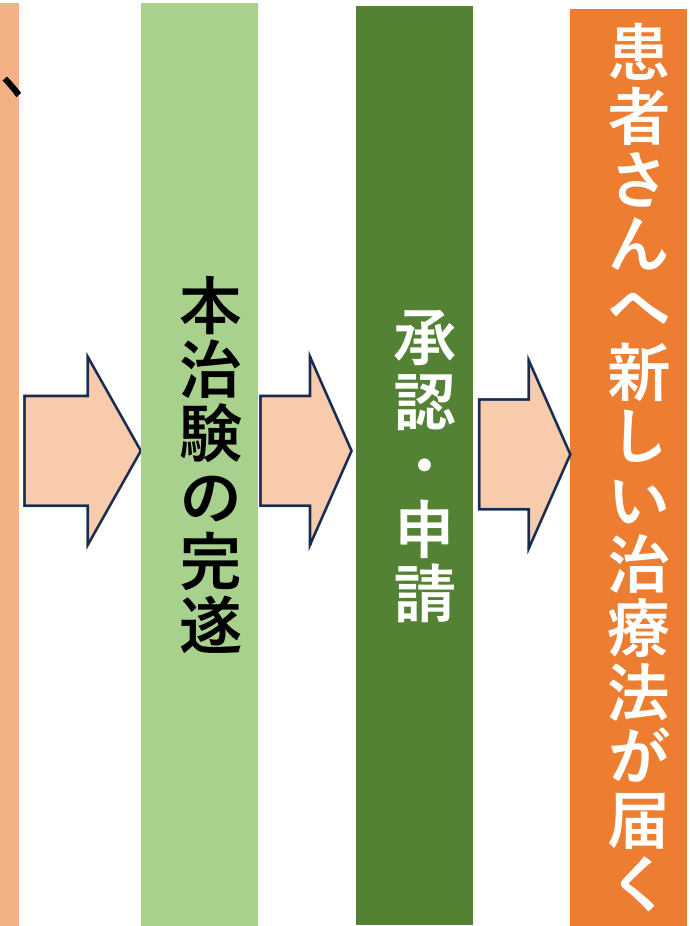
※後半は全例がシロリムス内服群となる

- 主要評価項目: 24週目のヘモグロビン値
- 主な副次評価項目: 網赤血球値、輸血使用状況、奏効率 など
- 被験者数: 30名

この治験の意義

後天性慢性赤芽球癆はまれな病気 しかし「独りではありません！」

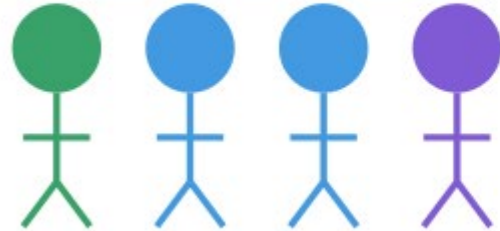
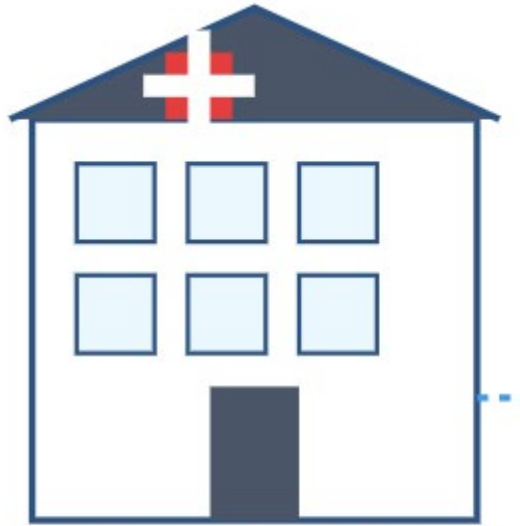
- シクロスポリンが効かず、いまだに貧血症状、薬の副作用、頻回な輸血で困っている患者さんへ、新たな治療選択肢を提供すること
- 「稀な疾患」であるがゆえに進めにくかった臨床開発への弾みをつけること
- 「稀な疾患」であるが「独りではない」というメッセージ



DCT（遠隔治療）

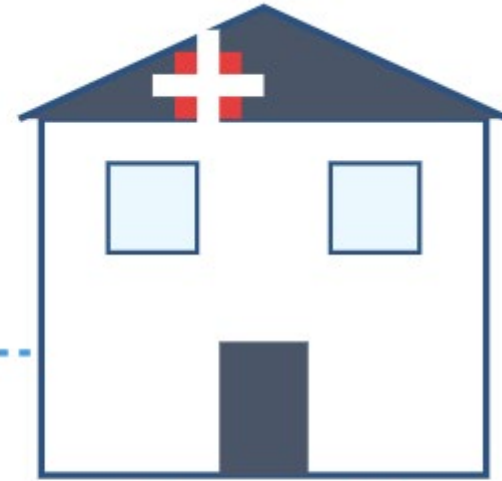
オンラインによる治療で全国から来院することなく参加可能に

信州大学医学部附属病院



専門医 治療支援スタッフ

お近くのかかりつけ医
(パートナー医療機関)



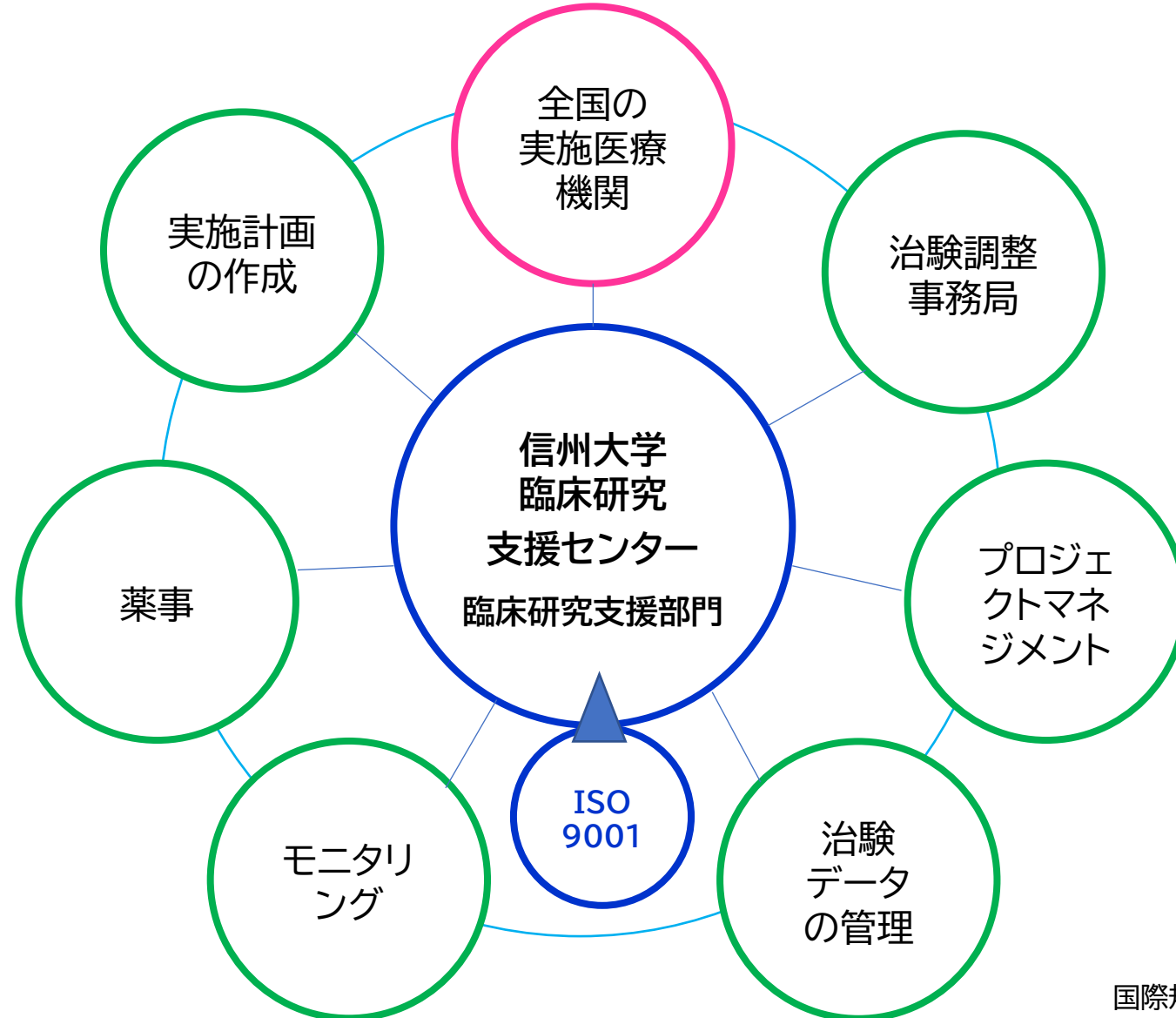
患者 医師



オンライン診療

医師主導治験を総合的に支援

～臨床研究支援センター－臨床研究支援部門～



信州大学医学部附属病院臨床研究支援センター 臨床研究支援部門のクオリティマネジメントシステム

国際規格ISO9001:2015認証取得

【臨床研究支援センター臨床研究支援部門 品質方針】

本学所属の研究者を含め研究者が主体的に実施する臨床研究が、高い信頼性を確保しつつ、迅速に実施されるよう研究者を多面的に支援し、本学の研究活動に貢献します。

法令規制の順守を含む研究者の要求を満たすため、品質マネジメントシステムの構築、実施を行い、品質マネジメントシステムを継続的に改善します。

臨床研究支援部門の目標の枠組みとして、研究の目標・意義、研究者の意思に基づく過不足の無い支援を目指します。

2023年6月1日
国立大学法人 信州大学医学部附属病院
臨床研究支援センター
センター長 奥山 隆平

適用規格	ISO9001:2015
認証登録番号	C2023-05866
登録事業者	国立大学法人信州大学 医学部附属病院 臨床研究支援部門
登録範囲	臨床研究支援業務
初回認証登録日	2023年12月2日
審査登録機関	ペリージョンソンレジス トラー



この治験の準備スタッフ

治験調整事務局



臨床研究支援センター臨床研究支援部門



AMED中澤班



信州大学血液内科



信州大学医学部附属病院の
キャッチフレーズとロゴ
マーク

笑顔をつくる

ミライをつくる

信 大 病 院