

試験の名称:	脊髄性筋萎縮症 II 型及び III 型患者を対象とした RO7034067 の安全性、忍容性、薬物動態、薬力学及び有効性を検討する 2 パートシームレス多施設共同ランダム化プラセボ対照二重盲検試験
試験実施者:	中外製薬株式会社
試験の概要:	成人及び小児の脊髄性筋萎縮症 II 型及び III 型患者さんを対象とし、RO7034067 とプラセボ（外見は治験薬と同じで、薬としての有効成分を含まない偽薬のことです）の効き目や体への影響を比較し、RO7034067 の効果や安全性について検討する試験です。この治験はパート 1 とパート 2 の 2 つの部分からなり、パート 1 では RO7034067 の適切な用量を決め、パート 2 ではその決められた用量での効果と安全性を検討します。 パート 2 では、2～25 歳の脊髄性筋萎縮症 II 型及び III 型患者さんに RO7034067 又はプラセボを服薬していただき、12 カ月間の投与期間を完了したら、主要解析が実施され、プラセボの被験者は RO7034067 に切り替えられ、24 カ月まで治療が継続されます。その後、非盲検期間に入る機会が設けられています。
対象疾患	脊髄性筋萎縮症
被験薬（用法・用量）	RO7034067（1 日 1 回朝食後、口又は栄養チューブから服薬）
対照薬（用法・用量）	プラセボ（1 日 1 回朝食後、口又は栄養チューブから服薬）
試験のフェーズ:	第 2 相
症例数	168（予定）
主な選択基準:	<ul style="list-style-type: none"> <li>・脊髄性筋萎縮症 II 型あるいは III 型と診断された方</li> <li>・片手又は両手を口まで上げることができるが、200 g の重りを持って手を口まで上げることができない方</li> <li>・一人で座ることができる方 （自分の腕で支えることで 5 秒間座ることができる方）</li> <li>・避妊に同意された方</li> </ul>
選択基準 年齢:	2～25 歳
選択基準 性別:	男女
主な除外基準:	<ul style="list-style-type: none"> <li>・SMN2 遺伝子に作用する薬剤の治験に参加したことがある方、遺伝子治療（SMN1 遺伝子を対象とする遺伝子治療）の治験に参加したことがある方</li> <li>・細胞治療を受けたことがある方</li> <li>・肺疾患でスクリーニング前 2 カ月以内に入院した方、又は入院を予定している方</li> <li>・脊柱側弯症に対する手術又は股関節固定術をスクリーニング前 1 年以内に受けた方、又はスクリーニング後 18 カ月以内に予定している方</li> <li>・消化管疾患、腎疾患、肝疾患、内分泌疾患、心血管疾患のある方</li> <li>・スクリーニング検査時の心電図検査で問題が認められた方、又は心不全、冠動脈疾患、心筋症、うっ血性心不全などの心血管疾患のある方、先天性 QT 延長症候群などの心血管疾患のあるご家族や心血管疾患が原因で突然死したと考えられるご家族をお持ちの方</li> <li>・スクリーニング検査前 1 カ月以内に重大な疾患が、又はスクリーニング検査の 1 週間前から初回服薬までの間に発熱性疾患が認められた方</li> <li>・この治験で規定されている期間に禁止されているお薬を使用された方</li> <li>・本治験の実施に影響のある眼科疾患のある方</li> </ul>
試験開始年月日	2017/12（予定）
試験の現状:	参加者募集中
試験実施地域:	日本、ベルギー、フランス、ドイツ、イタリア
問い合わせ先: 会社名・機関名	中外製薬株式会社 臨床試験窓口 <a href="mailto:clinical-trials@chugai-pharm.co.jp">clinical-trials@chugai-pharm.co.jp</a>