

| | |
|----------------|---|
| 試験の名称 | 脊髄性筋萎縮症 I 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 パートシームレス非盲検多施設共同試験 |
| 試験実施者 | 中外製薬株式会社 |
| 試験の概要 | 乳児の脊髄性筋萎縮症 I 型患者さんを対象とし、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、生後 1~7 カ月の脊髄性筋萎縮症 I 型患者さんに RO7034067 を服薬していただき、12 カ月間の投与期間を完了後、主要解析が実施され、24 カ月まで治療が継続されます。その後、さらに、RO7034067 の服薬を継続していただく機会を設ける予定です。 |
| 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) |
| 試験のフェーズ | 第 2 相 |
| 症例数 | 40 (予定) |
| 主な選択基準 | <ul style="list-style-type: none"> ・ 在胎期間が 37~42 週間のお子様 ・ 脊髄性筋萎縮症 I 型と診断されたお子様 ・ 体重が月齢別発達曲線の 3 パーセンタイル以上 (小さい方から数えて 3%目以上) のお子様 ・ スクリーニング時点で十分な栄養及び水分の補給を受けていると医師が判断したお子様 |
| 選択基準 年齢 | 生後 28 日 (1 カ月) ~210 日 (7 カ月) |
| 選択基準 性別 | 男女 |
| 主な除外基準 | <ul style="list-style-type: none"> ・ SMN2 遺伝子に作用する薬剤の治験に参加したことがあるお子様、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お子様 ・ 細胞治療を受けたことがあるお子様 ・ 肺疾患でスクリーニング前 2 カ月以内に入院したお子様、又は入院を予定しているお子様 ・ 消化管疾患、腎疾患、肝疾患、内分泌疾患、心血管疾患のあるお子様 ・ 侵襲的換気療法又は気管切開が必要なお子様 ・ 多発性又は固定性の関節拘縮 (関節の動きが制限された状態) が認められるか、出生時に股関節の亜脱臼又は脱臼が認められたお子様 ・ 血圧、心拍数がこの治験で定められた基準を満たさないお子様 ・ 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お子様、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お子様、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お子様 ・ 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お子様 ・ 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、又は飲食物を摂取されたお子様 ・ スクリーニング検査時の血液検査で問題が認められたお子様 ・ 本治験の実施に影響のある眼科疾患のあるお子様 ・ その他、治験参加が好ましくないと担当医師が判断したお子様 |
| 試験開始年月日 | 2018/6 (確定) |
| 試験の現状 | 参加者募集中 |
| 試験実施地域 | 日本、アメリカ、ベルギー、フランス、イタリア、スイス、トルコ、中国 |
| 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 clinical-trials@chugai-pharm.co.jp |