

創薬基盤推進研究事業 研究開発課題
事後評価報告書

研究開発課題名	慢性肉芽腫症腸炎に対する小児用サリドマイド製剤の実用化に向けた研究
代表機関名	国立成育医療研究センター
研究開発代表者名	河合 利尚
全研究開発期間	平成27年度～平成29年度

1. 研究開発成果

事後報告書（下 URL）参照

<https://www.amed.go.jp/content/000032445.pdf>

2. 総合評価

・優れている

・小児を対象としたサリドマイドの治験実施に際しては、倫理的、社会的にクリアしなければならないことが多いが、それらの問題にも適切に対処できている。医薬品医療機器総合機構から助言を得て、二重盲検比較試験へと臨床試験デザインを変更し、より質の高い現実的な研究事業にしたことが非常に評価できる。その上で、ほぼ計画通りの進捗ができており、大変理解し易い研究成果を得ている。

・患者数が少ないため、臨床試験結果の評価が困難となる可能性があり、将来に向けて、何らかの方策を考慮すべきかと思われる。

以上