

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109082h0003
研究開発課題名 : 薬事申請をめざした治療のない神経線維腫症 I 型のび慢性神経線維腫に対する有効で安全な局所大量療法薬開発のための医師主導治験
研究代表機関名 : 国立大学法人大阪大学
研究開発代表者名 : 金田眞理

評価委員会のコメント :

○評価できる点、推進すべき点、研究事業にとって必要である理由

シロリムスのドラッグリポジショニングとして有望である。

計画通りに実施できた。薬剤の治療効果が示唆された。

薬効は確立されている。

探索的なフェーズ II 試験結果は、有望な結果が得られている。

神経線維腫 I 型に対するラパマイシン外用療法の医師主導治験を遂行し、すでに総括報告書は完成し、今後の検証的医師主導治験へと進む段階にまで到達している。有効性は示唆され (?), 安全性は問題ない。

ラパマイシン含有外用薬による神経線維腫の治療は、外科療法が中心であった治療を外用薬にて行う可能性を示したこと。本邦発の外用薬剤の開発である。

探索的試験の結果が得られており、検証試験に進むエビデンスが得られている点。

有効な治療法が存在しない皮膚病変に対する意欲的な研究である。

医師主導治験を終了し、POC 取得、治験総括報告書の完成との成果を得た。

治験 PhaseII が終了している。

Volume Center と ARO 機能を十分に発揮して、所定の目標を達成。臨床 POC を得た。また新たな効果判定法も開発した。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

効果指標について、より客観的な測定が必要であろうと思われる。

評価方法が一般化されていない。

検証的試験を実施する場合に、経験のある研究者が参画しないと不安がある。

今回の医師主導治験で、主要評価項目において、CT 上、濃度依存的に腫瘍の縮小効果がみられたとしているが、統計学的有意差が認められたとは結論しがたい。このために検証的医師主導治験が必要と思われる。また、CT による体積測定結果が客観的であるかが不明。

腫瘍縮小の評価方法が客観的ではなく、データの正確性が不確定である。RECIST 基準を用いて、独立した放射線医に現在のデータを検証し、有意差があることを確認してから、次のステップに進む必要があると思われる。

薬事承認にむけては多施設共同検証試験が必要で継続申請が必要である。

効果測定の客観性がやや弱い。

以上