

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109085h0003
研究開発課題名 : 遠位型ミオパチーにおける N-アセチルノイラミン酸の第 2/3 相試験
研究代表機関名 : 国立大学法人東北大学
研究開発代表者名 : 青木正志

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

国内 P2/3 試験を予定通り終了しており、結果とりまとめ中であること。
計画通り、国際共同治験と国内治験を終了し、総括報告書を準備している。
ステップ 2 としての治験を実施した (18 年 1 月予定)。
所定の治験<20 例 (16 vs 4 control) RCT>は終了した。
本邦における医師主導治験は終了できた。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

国際共同治験の結果がネガティブだったことより、国内申請の道筋が不明となっている。
国際共同治験第Ⅲ相の結果が negative であったことから、国内で治験を継続することは困難となった。
国際共同第Ⅲ相試験で有効性が確認できないとの結果が好評されたことにより、今回のデータが仮に有効であってもそれだけでは薬事承認が難しくなっている。
国際共同治験結果で有効性実証されず。
国際共同第Ⅲ相試験の結果が公表され、有効性が確認できず、開発が断念された。その結果、本邦における薬事審製も難しくなった。

以上