

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109086h0003
研究開発課題名 : 小児期発症脊髄性筋萎縮症に対するバルプロ酸ナトリウム多施設共同医師主導治験の実施研究
研究代表機関名 : 学校法人東京女子医科大学
研究開発代表者名 : 斎藤加代子

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

当初予定していた二重盲検試験 (SMART02 試験) は、ほぼ計画通り進行した。申請には継続試験の結果も必要。

治験終了。総括報告書は年度内に完成。PMDA より指示された継続投与試験は年度内 LPO。オーファン指定済み。バイオマーカーも開発。企業への導出決定。

SMN 蛋白をターゲットしたバイオマーカーの開発、三次元運動解析など新たな評価指標の開発を試みている点。

予定数以上のエントリーを終了し、解錠待ちの状態である。導出先企業も決まり、契約も結ばれている。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

核酸医薬スピラザが承認されている現状において、本薬の位置づけが明確になっていない。三次元運動機能評価の開発と本薬の臨床開発は直接的に関係してこないのではないかと。バイオマーカーの開発も同様である。

データの解析がまだ行われておらず、VPA の有効性の判定ができないため、今後薬事承認へつながるかどうかの判断が困難

PMDA より追加された試験 (SMART03) は期間内には終了しない。

以上