

## 事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109087h0003  
研究開発課題名 : 肝細胞増殖因子 (HGF)による筋萎縮性側索硬化症の治療法開発  
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

プロトコル開発と治験実施体制整備、ALS レジストリの活用をおこない、プラセボ対照二重盲検並行群間比較試験 (Ph2) 目標症例数 48 例を実施中で、本登録者数は 12 例、仮登録者数は 26 例である。重篤な難病であり、有効な治療法が存在しない本疾患において、新たな作用機序で、髄腔内投与という方法を用いて行う医師主導治験を実施している。治療の選択肢を広げる可能性のある重要な研究である。

本邦で発見された運動神経保護因子を用いて、世界に先駆けて臨床試験を行なっている点頻回の髄腔内投与を可能とする、髄腔内投与機器を同時に開発している。

治験の準備が完了し、第Ⅱ相医師主導治験を開始した。

### ○疑問点、改善すべき点、その他助言等

被検者リクルートについて本登録／仮登録率が低い現実があり、治験の進捗が危惧されている。

今回の治験対象となる ALS 患者のリクルートは困難なことは理解できるが、治験の組み入れ状況が思わしくない。

髄腔内投与、医療機器との医師主導治験の実施であり、実施施設を絞らざるを得ないとは考えられるが、今後は実施施設の追加なども検討すべきではないか。

5施設のみでのレジストリ構築で、登録予定患者数も 100 例と少ない。他のレジストリや施設と協力して行くことを検討すべきである。

患者登録が滞っている。

目標症例数 48 例中、本登録者数は 12 例にとどまっている。

以上