

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109088h0003
研究開発課題名 : ミトコンドリア病に合併する高乳酸血症に対するピルビン酸ナトリウム治療法の
開発研究 ―試薬からの希少疾病治療薬開発の試み―
研究代表機関名 : 学校法人久留米大学
研究開発代表者名 : 古賀靖敏

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

ミトコンドリア病に合併する高乳酸血症に対するピルビン酸ナトリウムに関する治験は、MELAS/MELA に対するプラセボ対象ランダム化二重盲検比較試験と Leigh 脳症に対する治験が別々に行われており、2019 年に総括報告書が完成する予定である。また、バイオマーカーGDF-15 を用いた体外診断薬も開発中であり、概ね進捗状況は良好である。

ピルビン酸ナトリウムを使用した自主臨床研究により、難病に対する有用性を証明している。

日本初の創薬による医師主導治験が行われている点。

ミトコンドリア病に対しての、診断薬の開発から創薬を一括で検討している研究である PLA002, 003 とともに検証的試験の完了に見通しが立っている。また PLA002 からは、有効性が示唆されている。大概診断薬については、研究機関内での申請が想定されている。

PMDA の助言に基づいて、精度の高い治験を実施し、安全性が確認された。バイオマーカーGDF-15 を開発申請見込み。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

ミトコンドリア病に対する治験の最終結果が出ていない。

創薬の有効性の最終結果に関しては長期にわたる観察が必要である点。

PLA002 では、当初の有効性が検証されなかったことから、今後も引き続き、PMDA との対面助言等を利用して開発方針を定める必要がある。

治験薬の効果の実証には、まだ試験が必要である。

以上