

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109091h0003
研究開発課題名 : 重症肺高血圧症の予後と生活の質を改善するための安心安全のナノ医療製剤（希少疾病用医薬品）の実用化臨床試験
研究代表機関名 : 国立大学法人九州大学
研究開発代表者名 : 江頭健輔

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

第1相医師主導治験)を完了し、着実に多拠点連携早期第2相医師主導治験体制を構築している。ナノ化したピタバスタチン投与という、新たな肺動脈性肺高血圧症の治療法を提案していること。開発薬のPI試験(IV安全性)は完了。患者を対象としたPIIは何度内に治験届を提出するところまできた。ナノパーティクルに着目以来、着実に成果が積み上げられている。分析が細胞内機能に及んでおり、且つ成果が出てきている。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

なぜスタチンが有効であるのか、基礎研究による機序の検討が決して十分ではないように思われる。現在、肺動脈性肺高血圧症の予後は大きく改善しており、研究者が記載する5年生存率50%以下は、誤った前提となっている。Phase II試験ではプラセボ対照試験を実施すべきである。非臨床POC試験をPMDAから指示され、新たに実施しなければならなかった。

以上