

「創薬支援推進事業・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業」
平成 30 年度事後評価結果

補助事業課題名： 遠位型ミオパチーに対する N-アセチルノイラミン酸の開発
機 関 名： ノーベルファーマ株式会社

評価委員会のコメント：

- ・計画どおり東北大学が実施している医師主導治験への治験薬の提供を行い、提供先で実施された国内Ⅱ/Ⅲ相試験では良好な結果が得られていることは評価できる。
- ・海外の第Ⅲ相試験で有効性を示すことが出来なかったことが残念である。国内と国外で別々に実施された第Ⅱ/Ⅲ相試験の結果が相反したこと、症例数の多い海外での試験で有効性を示すことが出来なかったことを慎重に判断する必要がある。

以上