

1. 中間評価を実施した課題

課題名	患者レジストリを活用した日本発の新規作用機序を有する革新的デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬の開発
代表機関	大鵬薬品工業株式会社
公募型	一般型
公募タイプ	実用化開発タイプ

2. 本課題の概要

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）は、出生男児約 3,500 人につき 1 人の割合で発症し、ジストロフィン遺伝子変異が原因の難治性疾患である。病態は筋力低下に伴う歩行不能、心肺機能の低下であり、死に至るものである。治療薬として承認されている経口ステロイド剤プレドニゾロンは副作用管理が必要であり、新規治療薬の必要性は極めて高い。

そこで代表機関は DMD の病態進展への関与が示唆されている造血器型プロスタグランジン D 合成酵素（HPGDS）に着目し、その選択的阻害剤である化合物（TAS-205）を開発した。この TAS-205 は炎症に関わるプロスタグランジン D<sub>2</sub>（PGD<sub>2</sub>）の産生を選択的に阻害することが可能であるほか、本剤は理論上すべての DMD 遺伝子変異患者が治療対象となりうる。また、経口投与のため患者への負担が少なく、低分子化合物のために遺伝子治療に比べて医療費の負担が少ないことが想定される。これまでに、DMD 患者を対象とした第 I 相臨床試験及び第 II 相臨床試験を実施し、本剤の安全性及び忍容性に問題がないことを確認した。

したがって、本課題においては DMD に対してジストロフィン遺伝子変異に依存しない新規作用機序を有する経口治療薬を開発することを目的として、第 III 相臨床試験を実施する。加えて、信頼性を適切に担保した自然歴研究データ（患者レジストリデータ）を対照群として比較解析を行う。

このことにより、開発期間の短縮や開発費用の低減等が見込まれ、他の希少疾患薬の開発が活性化されることが波及的に期待される。

3. 評価結果

研究開発等の進捗状況及び今後の見込みについて評価した結果の概要を以下に示す。

「第 III 相臨床試験を開始できる環境が整うというマイルストーン 1 を計画通り達成しており、さらに予定していた非臨床試験を完了し、問題となる課題は認められていない。重篤な難治性疾患に対する新規治療薬の開発であり、今後その成果が期待されるものである。」

以上、研究開発実施計画書で設定されたマイルストーンの達成目標をクリアする結果を確認したことから、本課題の継続を可と評価した。

以上