

医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）中間評価結果

1. 中間評価を実施した課題

課題名	家族性小児四肢疼痛発作症に対する新規治療薬の研究開発
代表機関	AlphaNavi Pharma 株式会社
公募型	スタートアップ型
公募タイプ	実用化開発タイプ

2. 本課題の概要

家族性小児四肢疼痛発作症は、2016 年にはじめて報告されたアンメット・メディカル・ニーズの高い希少疾患である。この疾患は乳幼児期に発症し、およそ月数回以上発作性の手足の痛みを生じることが知られており、潜在患者も多く存在する。

代表機関は痛みの神経伝達に関わるナトリウムチャネル(Nav1.7、Nav1.8 及び Nav1.9)の選択的阻害薬 ANP-230 を有しており、家族性小児四肢疼痛発作症をはじめとする慢性疼痛疾患に対する治療薬として開発を進めている。

本課題では、新たな患者探索を目的として、家族性の難治性疼痛疾患を全国的に探索し、患者由来の血液サンプルを用いて遺伝子解析を実施しつつ、家族性小児四肢疼痛発作症患者に対する ANP-230 の安全性及び鎮痛効果を確認することを目的として、探索的Ⅰ/Ⅱ相試験を実施する。

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。

「コロナ禍の状況でも順調に計画が進捗し、第Ⅱ相臨床試験への患者リクルートも進んでいる。また家族性小児四肢疼痛発作症の遺伝疫学的調査も進めており、今後更なる進展が期待される。」

以上、研究開発実施計画書にもとづき、進捗を確認した結果、本課題の継続を可と評価した。

以上