

医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）事後評価結果

1. 事後評価を実施した課題

課題名	精神症状を伴う月経前症候群/月経前不快気分障害患者に対するピリドキサミンの臨床開発
代表機関	株式会社レナサイエンス
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

月経前症候群（以下、「PMS」という。）は、月経前の3～10日ほど精神症状や身体症状が続き、月経が始まると軽快・消失する女性特有の疾患である。精神症状がより重い場合は月経前不快気分障害（以下、「PMDD」という。）に分類されるが、実臨床では両者を連続的な疾患と捉えている。

国内で承認された治療薬はなく、抗うつ薬や低用量ピルが適用外で使用されるが、副作用や使用に対する抵抗感もあり十分に普及していない。

代表機関は、一連の非臨床試験からビタミン B6 の一種であるピリドキサミン（以下、「本剤」という。）に着目し、探索的臨床試験（非盲検）で有用性を示唆する結果を得た。

本課題では、本邦初の PMS/PMDD 承認薬を目指し、本剤の第Ⅱ相医師主導治験（プラセボ対照二重盲検 3 群比較試験）において有効性と安全性を確認し、実用化に繋げることを目的とする。

3. 本事後評価の目的

(1) 計画に対する達成状況や成果を把握する。

(2) 本課題の達成目標が 2024 年 6 月迄に達成できているかを確認する。

第Ⅱ相医師主導治験において、月経前症候群症状日誌（以下、「DRSP」という。）を評価指標として PMS/PMDD に対する本剤の有効性を確認する。

4. 成果

(1) 第Ⅱ相医師主導治験の準備

本治験の最大の課題はプラセボ効果の排除であることから、プラセボリードイン期を設ける試験デザインとした。

(2) 第Ⅱ相医師主導治験の実施・推進

計画期間内に治験を終了した。解析対象集団の 118 例（プラセボ群、実薬低用量群、実薬高用量群）を対象とする有効性の結果については、主要評価項目である DRSP negative mood score（DRSP のコア症状である憂鬱、不安、不安定、怒りなどのスコア）の変化量は、3 群間に統計学的な有意差は認められなかった。

安全性については、本剤に特有の有害事象は認められず、また、副作用の発現率もプラセボ群と同程度であった。

5. 評価結果

「第Ⅱ相医師主導治験を完遂したが、主要評価項目である DRSP negative mood score において、統計学的な有意差は認められず、本治験で本剤の有効性は確認出来なかった。」

これらの結果等にもとづき、本課題については目標未達と評価した。

6. その他

試験デザインの工夫がなされたが、精神症状の評価においてプラセボ効果の排除は難しいことを再確認した。

以上