

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 | 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（ViCLE） |
| 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（以下、「本疾患」という。）は、2016年に初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。本疾患は乳幼児期に発症し、月に数回以上の頻度で突発痛を起こすことが知られている。本疾患に確立した治療薬はなく、アセトアミノフェン等の鎮痛薬の投与による対症療法が主体となっている。代表機関は、痛みの神経伝達に関わるナトリウムチャンネル（以下、「Nav」という。）の1.7、1.8及び1.9の選択的阻害薬 ANP-230（以下、「本剤」という。）を有しており、本疾患の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、本疾患に対する本剤の安全性及び鎮痛効果を確認することを目的として、探索的第1/2相臨床試験を実施する。

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4月迄に達成できているかを確認する。

探索的臨床試験が完了し、本剤の鎮痛効果の強さ、疼痛発作回数に対する効果が確認でき、且つ許容できる安全性も確認する。

4. 成果

(1) 本剤の小児四肢疼痛発作症に対する探索的第1/2相臨床試験

探索的第1/2相臨床試験においては37例が登録され、二重盲検期に移行した30例を対象に有効性・安全性の評価を実施した。

主要評価項目である疼痛スコア、副次評価項目である疼痛発作回数において被験薬群とプラセボ群との間に統計学的な有意差を認めなかった。

安全性については、臨床的に意義のある有害事象はなく、本剤の忍容性が確認された。

(2) 患者探索、遺伝学的調査

遺伝学的調査の結果、調査期間中に約200家系の血液サンプルを入手した。これらを解析した結果、Nav遺伝子変異を有する約90家系を見出した。

5. 評価結果

「本剤の安全性に問題はなかったが、主要評価項目をはじめとする有効性に関するエンドポイントにおいて、プラセボと比較して統計学的な有意差を認めなかった。」

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。

以上