

## 総括研究報告書

1. 研究開発課題名：特発性大腿骨頭壊死症における bFGF 含有ゼラチンハイドロゲルによる壊死骨再生治療の開発
2. 研究開発代表者：秋山 治彦（国立大学法人岐阜大学 大学院医学研究科）
3. 研究開発の成果

本研究開発の最終目標は、骨頭圧潰前の特発性大腿骨頭壊死症患者に対する骨頭圧潰阻止の治療薬として、塩基性線維芽細胞増殖因子（bFGF）であるトラフェルミン（遺伝子組換え）のゼラチン製剤の製造販売承認を取得することである。そのために、本年度は、治験薬の製造、医師主導治験の準備を行い、岐阜大学医学部附属病院、東京大学医学部附属病院、京都大学医学部附属病院及び大阪大学医学部附属病院において、医師主導治験を開始することを目的とした。

医師主導治験の準備として、治験調整医師、治験調整事務局が中心となり、治験実施計画書、同意説明文書、治験薬概要書の補遺、各種手順書、マニュアル等を作成した。また、効果安全性評価委員会、画像中央判定委員会について、委員の選定、手順書の準備等を進めた。

治験薬について、トラフェルミン（遺伝子組換え）（凍結乾燥品）及びゼラチン架橋体（凍結乾燥品）を治験薬 GMP に準拠して、国内 CMO において委託製造を行い、国内 CMO 及び治験薬提供者である科研製薬株式会社において、品質試験を実施した。医師主導治験に用いる治験薬を用意することができた。また、治験薬投与に関して、調製方法、投与方法を確定することができた。

2015 年 11 月に岐阜大学医学部附属病院の治験審査委員会（IRB）において、審査を行い、承認を得た後、2015 年 12 月に治験計画届出を医薬品医療機器総合機構（PMDA）に提出した。また、京都大学医学部附属病院においては、2015 年 12 月に IRB において、審査を行い、承認を得た後、2016 年 1 月に当施設を追加する治験計画変更届出を PMDA に提出した。

以上の手続き等を経て、国内 CRO による治験前のシステム監査が実施された後、2016 年 1 月より、岐阜大学医学部附属病院及び京都大学医学部附属病院の 2 施設において、症例の登録を開始した。

また、大阪大学医学部附属病院及び東京大学医学部附属病院においては、2015 年 12 月に各施設の IRB に申請を行い、承認を得た後、それぞれの施設を追加する治験計画変更届出を 2016 年 2 月及び 3 月に PMDA に提出した。

2015 年度には、本治験に 12 例が登録されている。

また、治験を実施するために、京都大学医学部附属病院臨床研究総合センターとともに、EDC システムの構築も行い、2016 年 1 月から運用を開始している。

医師主導治験の外部対照群のデータを取得するために実施する観察研究について、京都大学医学部附属病院臨床研究総合センターの支援の基、実施計画書案を作成した。

4. その他