

総括研究報告書

1. 研究開発課題名： ギラン・バレー症候群に対するエクリズマブの安全性と有効性を評価する前向き・多施設共同・第Ⅱ相試験
2. 研究開発代表者： 桑原聡（国立大学法人千葉大学大学院医学研究院 神経内科学）
3. 研究開発の成果

ギラン・バレー症候群（Guillan-Barré syndrome : GBS）は免疫介在性の多発神経炎であり、末梢神経障害が発症から4週間以内に極期に到達する急性疾患である。GBSの標準治療は免疫グロブリン療法または血漿交換療法であるが、急性期における人工呼吸器装着率は18-28%、死亡率は4.1-6.3%、重症例では、回復に数ヶ月から数年を要し、16.7-19.7%の患者は発症から1年後も歩行に介助を必要とする。従って、重症GBSにおける生命・機能予後の改善のために新たな治療方法が求められている。本研究は、重症GBS患者対象の未だ解決されていない **unmet medical needs** に応えるために計画された前向き・多施設共同・第Ⅱ相試験（医師主導治験）である。治験薬エクリズマブは、発作性夜間ヘモグロビン尿症、非典型溶血性尿毒症症候群の治療薬として承認されている抗補体モノクローナル抗体であり、GBSにおける有効性・安全性を検討することを目的としている。また、本研究は、平成26年度より平成28年度まで日本医療研究開発機構の臨床研究推進研究事業早期探索的・国際水準臨床研究事業に採択され、当該研究費に基づき **proof-of-concept (POC)** の位置づけとして開始された。

平成26年度は治験開始準備期間として、計画書骨子の立案、治験薬提供者との協議、PMDAとの薬事戦略相談（対面助言）、参加13施設選定、治験実施計画書の固定、SOP等の整備、3月の全体会議（プロトコール検討会）と進めた。全体会議では、各参加施設から質問や指摘事項をうけ、計画書へ反映した。

平成27年度は治験開始期間として、治験薬提供者との契約、委託業務先の選定（モニタリング、監査、割付・症例登録業務、検体回収・保管）、治験計画届を提出し試験を開始した。全参加施設を対象にキックオフミーティングを7月に開催し、治験実施の具体的な手順や方法を確認し、計画書に則った試験の遂行に努めた。リクルートを円滑に進めるために、Websiteの開設、関係学会への周知、専門医への手紙の配布を行った。症例登録を7月から開始し、治験薬の輸入を3回に分けて行なった。治験実施中は、参加施設対象にニュースレターを随時配信し、情報共有とリクルート推進に努めた。各参加施設の積極的な関わりにより平成27年度の目標症例数である全症例数33の7割は達成した（平成28年4月22日時点で全症例登録満了）。現時点でデータ固定を平成28年12月に予定しており、本治験結果を踏まえて承認に向けた展開を計画する。