

## 総括研究報告書

1. 研究開発課題名：アンメットメディカルニーズ克服のための創薬と育薬
2. 研究開発代表者：岡山大学病院 病院長 槇野博史（当該年度3月31日時点の所属）
3. 研究開発の成果

### (1) AROによる効率的な治験支援体制の確立

当院主幹の医師主導治験3試験についてICH-GCP準拠のモニタリング、CRC業務、プロジェクトマネージメント業務等の治験支援業務並びに治験事務局業務を実施した。特にモニタリングについては少ない人員を治験に効率的に割り振るため、プロジェクトマネージャーが毎週治験の進捗管理を行い、適時モニタリングを実施することをモニターに指示した。また治験の品質を確保するためにモニターに対してはモニタリング報告書あるいはメールの内容に応じて必要な方策を指示し、CRCは担当医師に対し信頼性の高いデータ記載を依頼し徹底した。治験事務局についてはルーチンとして行われる連携医療機関への連絡体制確立に努めた。また安全性情報の報告についても、手順書に従った書面の準備・作成、関係医療機関への連絡を迅速に実施し、当局への報告義務期限に間に合うように有害事象報告を実施した。

### (2) 希少疾患をターゲットとした多施設共同医師主導治験の実施

企業治験としての実施が困難な希少疾患をターゲットに、既承認医薬品の適応拡大を目的とした3つの医師主導治験を実施中である。症例エントリーを加速するための方法として、1試験においては中四国の32の医療機関において候補患者のスクリーニング検査を実施し、特定遺伝子変異を認める肺がん症例を候補症例として3つの治験実施医療機関へ紹介し、治験へエントリーする仕組みを活用している。なお当該治験の進捗については、平成27年11月26日のAMEDプロジェクト連携シンポジウム（旧統合戦略会議）（がん領域）並びに平成28年3月2日の革新的医療技術創出拠点プロジェクト成果報告会において、分担研究者の木浦勝行が、「特定遺伝子異常（HER2）を有する肺がん患者への個別化治療研究」と題して報告した。他の2試験についても連携医療機関に調整医師が赴いて打合せを行い、症例エントリーに努めている。

3つの医師主導治験の対象疾患はいずれも当該領域におけるアンメットメディカルニーズと考えられており、アカデミア開発に対する社会的期待も大きい。そのため当該治験データが薬事承認申請のための根拠資料となるべく、AROによる治験の品質確保を行い、企業への導出を図っていく。

### (3) 悪性胸膜中皮腫に対する新規遺伝子治療の臨床研究

本研究は悪性胸膜中皮腫に対して岡山大学が開発中の遺伝子医薬品を単独で投与した場合の安全性の検討（最大耐量（maximum tolerated dose；MTD）の推定）を行うことを主目的として実施された。平成26年度までに実施した非臨床試験において悪性胸膜中皮腫に対する非臨床POC（がん細胞の選択的細胞死、抗がん免疫の活性化、局所・全身での抗腫瘍作用等）が確立している。非臨床試験では胸腔内に広がる悪性胸膜中皮腫病巣への直接効果と、抗がん免疫の活性化による遠隔病巣への間接効果が示された。当該非臨床試験結果を基に製薬企業が治験届を提出、受理された。また臨床POCは、先行する前立腺癌を対象とした治験及び臨床研究においてすでに確立している。

平成27年度には、本薬の開発の主体が、当拠点で実施した基礎研究の成果に基づき医師主導臨床研究から企業治験への橋渡しに移行できた。今後治験実施医療機関の一つとして当該治験を実施することで、引き続き本薬の臨床開発に貢献する。