

## 総括研究報告書

1. 研究開発課題名：声帯癬痕患者に対する KP-100(ヒト組み換え HGF；肝細胞増殖因子)の声帯内投与に関する第 I/II 相試験-医師主導治験-

2. 研究開発代表者： 楯谷 一郎 京都大学大学院医学研究科 講師

3. 研究開発の成果

背景：声帯癬痕は、音声の発生源である声帯粘膜が硬化する病態で、炎症や外傷によって起こり、不可逆的で重度の音声障害をきたし、有効な治療法がない。重度の音声障害は生活や仕事に多大な支障をきたすため、有効な治療法の開発が急務である。

目的：声帯癬痕（溝症を含む）を有する患者を対象として、KP-100LI（ヒト組み換え HGF；肝細胞増殖因子）声帯粘膜内投与による声帯再生治療に関する安全性を確認するとともに、有効性評価指標を探索するための第 I/II 相試験（医師主導治験）を行う。

プロトコール：

1. 適格患者：20 歳以上 65 歳以下の声帯癬痕（溝を含む）患者。悪性腫瘍の既往がなく、VHI-10 が 11 点以上のもの。
2. 目標症例数：18 例（1, 3, 10 $\mu$ g/片側声帯、各 6 例）
3. 試験デザイン：反復投与、オープン試験、用量漸増
4. 治験薬：KP-100LI（ヒト組み換え HGF；肝細胞増殖因子）
5. プロトコール治療：両側声帯に KP-100LI を注入し、これを隔週で 4 回反復投与する。
6. 主要評価項目：KP-100LI 投与に対する安全性(有害事象、臨床検査値、生理学的検査)

副次的評価項目：

治療期開始前(スクリーニング期)と治療期終了後 24 週目の各種評価項目の差

治療期終了後 4 週目、12 週目目における各種評価項目の改善の有無

成果：

治験は当初の予定通り順調に進捗している。

### 進捗状況

平成 26 年 9 月 25 日 治験開始

平成 27 年 11 月 17 日 FPI：Step I の 1 例目への治験薬の初回投与を施行

平成 27 年 6 月 15 日 Step I の 6 例において安全性に問題のない事を確認のうえ、Step II の 1 例目への初回投与を開始

平成 27 年 11 月 9 日 Step II の 6 例において安全性に問題のない事を確認のうえ、Step III の 1 例目への初回投与を開始

平成 28 年 1 月 12 日 Step III の 6 例目の最終投与を完了

現在、治療後の追跡調査中である。

### 今後の予定

平成 28 年 7 月には全症例の追跡を終了する予定で、その後、データ解析、総括報告書作成を行う予定である。データに基づいて次相試験の検討にはいる。

分担研究者の役割：分担研究者は研究代表者とともに治験の遂行に携わっている。治験薬投与、追跡調査、データ収集・解析などの作業を分担して行っている。