

平成 28 年度 委託研究開発成果報告書

I. 基本情報

事業名： (日本語) 臨床研究・治験推進研究事業
(英語) Project Promoting Clinical Trials for Development of New Drugs

研究開発課題名： (日本語) 小児低亜鉛血症に対する酢酸亜鉛顆粒剤の有効性・安全性の評価のための医師主導
治験
(英語) Phase three clinical trial of NPC-02 in children with hypozincemia

研究開発担当者 (日本語) 国立成育医療研究センター 器官病態系内科部 消化器科 医長
新井 勝大

所属 役職 氏名： (英語) National Center for Child Health and Development
Division of Gastroenterology Chief Katsuhiko Arai

実施期間： 平成 28 年 4 月 1 日 ～ 平成 29 年 3 月 31 日

分担研究 (日本語) 酢酸亜鉛顆粒剤の適切な調剤・服用方法の検討・検証、治験薬の管理
開発課題名： (英語) Adequacy evaluation of dispensing, administration and storage management
of zinc acetate preparation (NPC-02)

研究開発分担者 (日本語) 国立成育医療研究センター 薬剤部 部長 石川 洋一
所属 役職 氏名： (英語) National Center for Child Health and Development
Department of Pharmaceuticals Director Ishikawa Yoichi

II. 成果の概要 (総括研究報告)

- ・ 研究開発代表者による報告の場合

(和文)

医師主導治験実施体制の整備

国立成育医療研究センター臨床研究開発センター臨床研究推進室に治験調整事務局を設置し、同データ管理室にデータマネジメントを、同開発企画室にモニタリングを、同生物統計室に解析を、株式会社アイメプロに監査を委託した。治験開始前の監査を行い、治験開始後はモニタリングも行っている。

治験薬の管理

治験薬は平成 28 年 6 月 30 日に納品された。現在、治験薬管理者 (薬剤部長 石川洋一) によって管理されている。

適切な調剤・服用方法の検討

経管チューブを用いて製剤を投与する場合の製剤の通過性およびチューブへの吸着性について試験を行った。試験結果より「5 Fr 以上のチューブなら、十分に使用を正当化できる」こと、経管チューブへの吸着性については「吸着性なし」との結論を得た。(詳細：報告書「NPC-02 顆粒 (5%) の経管投与に関する試験」)

医師主導治験の開始および登録状況

本医師主導治験の計画書を 4 月末に固定し、国立成育医療研究センター治験審査委員会 (平成 28 年 5 月 19 日) にて承認された。平成 28 年 6 月 9 日に独立行政法人医薬品医療機器総合機構へ治験計画届出書を提出し、受理された。7 月 5 日に当センターの総合診療部、内分泌・代謝科、神経内科の治験分担医師を対象にスタートアップミーティングを開催し、患者の登録を開始した。患者登録開始後、血清亜鉛濃度 80 μ g/dL 未満を示し、除外基準に抵触しない低亜鉛血症の既往がある患者 14 名の保護者に対し本治験について説明し、9 名の候補患者の保護者より同意を取得した。スクリーニング検査で脱落する候補患者が多く、平成 28 年度 3 月 31 日時点で、登録患者数は 2 名である。

(英文)

Development of implementation system for investigator initiated clinical trial

Trial coordination office was developed in Division of Clinical Trial, Center for Clinical Research and Development, National Center for Child Health and Development (NCCHD). Data management, data analysis, and monitoring task were consigned to Division of Data Management for Clinical Research, Division of Biostatistics, and Department of Developmental Strategy at NCCHD. The audit was outsourced to Imepro Inc.. The audit was performed before starting the clinical trial, and the monitoring had been performed as planned.

Management of investigational drug

The investigational drug, NPC-02, was delivered on June 30, and has been managed at the Department of Pharmaceuticals, NCCHD.

Evaluation of investigational drug for proper compounding and administration

For the proper administration of investigational drug through nasogastric or gastrostomy tube, its passage and absorption to the tube was tested. As the results, the use of investigational drug can be justified if the tube is 5Fr. or larger. There was no absorption of investigational drug to the tube.

Initiation of the investigator initiated clinical trial and the status of registration

The research plan of this investigator initiated clinical trial was completed by the end of April, and it was approved by the institutional review board of NCCHD on May 19. The clinical trial protocol notification was submitted to the Pharmaceuticals and Medical Devices Agency on June 9. The start-up meeting among the co-investigators from Department of General Pediatrics & Interdisciplinary Medicine, Division of Endocrinology & Metabolism, and Division of Neurology on July 5. After the exclusion of patients for the exclusion criteria and physicians' selection, the investigator initiated clinical trial was explained to 14 patients and their guardians. Consent for the participation to the clinical trial was obtained from 9 patients and their guardians. Because majority of candidates were dropped out by the screening test, only 2 patients had been registered, and investigational drug had been started to both of them.

III. 成果の外部への発表

- (1) 学会誌・雑誌等における論文一覧（国内誌 0 件、国際誌 0 件）

該当なし

- (2) 学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表

1. 炎症性腸疾患の小児患者における低亜鉛血症の実態調査, 口頭, 船山理恵, 野村智実, 竹内一朗, 丘逸宏, 清水泰岳, 平野友梨, 新井勝大, 第17回日本小児IBD研究会, 2017/2/5, 国内.

- (3) 「国民との科学・技術対話社会」に対する取り組み

該当なし

- (4) 特許出願

該当なし