

平成 28 年度 医療研究開発推進事業費補助金  
成果報告書

I. 基本情報

事業名： (日本語) 創薬支援推進事業・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業  
(英語) Project Promoting Support for Drug Discovery “Support Program for Orphan drug prior to the Designation”

補助事業課題名： (日本語) 遠位型ミオパチーに対する *N*-アセチルノイラミン酸の開発  
(英語) Development of *N*-acetylneuraminic acid for distal myopathy

補助事業担当者 (日本語) 研究開発本部 プロジェクトマネージャー 鈴木良一

所属 役職 氏名： (英語) Ryoichi Suzuki Project Manager, Research & Development

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

## II. 成果の概要（総括研究報告）

### ・ 補助事業代表者による報告（日本語）

東北大学神経内科青木正志教授を治験調整医師とし、東北大学、国立精神・神経医療研究センター、名古屋大学、大阪大学、熊本大学が参加し、現在医師主導の N-アセチルノイラミン酸第Ⅱ/Ⅲ相試験が実施されている。本試験では、当社の米国協業先が医薬品として開発中のものと同じ徐放錠が使用されている。昨年度、当社は国内で製造した治験用原薬を米国協業先に輸出し、それをもとに製造した徐放錠を輸入して青木教授に提供したが、本試験に必要な治験薬の一部が未納であった。本年度は、まず未納分の治験薬を納入した。また、本試験に参加した被験者及び研究者からの強い要請を受け、試験を終了した被験者から順次延長試験に移行できるように、延長試験開始から約 1 年分の治験薬を製造・輸入し、青木教授に提供した。

治験用原薬は国内の製造委託先と当社とで治験薬 GMP に準拠して製造できるように開発を進めてきた。一方、原薬の商業生産に向け、米国協業先からの原薬の品質に関する要請を聞く必要があり、国内製造委託先と調整し製造原料の規格試験法検討などに対応した。その結果を治験用原薬にも適用した。

米国協業先と当社とは治験薬の安全性情報交換の契約を締結し、青木教授他国内治験に参加している研究者、関係者の協力を得て、海外との情報交換を継続して実施している。また、実施中の治験の安全性情報を含む海外情報をもとに治験薬概要書の改訂のために修正、追記を行い、青木教授に提供した。

当社は、本試験の終了後、海外臨床試験成績も含めた申請資料を作成し薬事承認申請をする予定である。そのために入手済みの海外臨床試験の報告書の主要部分を翻訳し、また入手済みの国内外の臨床試験計画及び結果に基づき可能な範囲で申請資料 draft を作成した。

### ・ 補助事業代表者による報告（英語）

Tohoku University, the National Center of Neurology and Psychiatry, Nagoya University, Osaka University, and Kumamoto University are participating in a Phase II/III investigator initiated clinical trial of N-Acetylneuraminic acid, with Professor Masashi Aoki of the Department of Neurology, Tohoku University School of Medicine acting as the coordinating investigator. This study is using the Sialic Acid-Extended Release tablet that our company's U.S. partner is developing as a drug now. The Last fiscal year our company exported the active pharmaceutical ingredient for the clinical trial that was manufactured by a Japanese company to our U.S. partner, and we then imported the investigational drug made from that material and we provided it to Dr. Aoki. However, a portion of the drug that was required for the trial remained undelivered. This year, we first imported the undelivered drugs for the clinical trial. Additionally, we received strong requests from patients and researchers who participated in the trial to manufacture and import approximately one-year's supply of the investigational drug in order to transition to extended post-trial studies, which we supplied to Dr. Aoki.

Our company and the Japanese company that manufactures the API for this trial have pursued manufacturing that complies with the investigational drug GMP. Meanwhile, it was necessary to listen to requests from our U.S. partner regarding API quality for commercial manufacturing of

the API, and we responded by such actions as studying test procedures and acceptance criteria. Those results have been applied to the API for the clinical trial.

Our company and our U.S. partner have a contract to exchange safety information pertaining to the investigational drug, and with the cooperation of Dr. Aoki and the researchers and other participants in this trial in Japan, we continue to exchange information with our overseas partner. Additionally, we revise and make additions to the investigator's brochure based on overseas information, including safety information from the trial that is being conducted, and we provide that to Dr. Aoki.

Our company plans to complete an application for approval of this drug including results from the overseas clinical trial when this clinical study is finished. For that purpose we have translated the major portions of the information documents from the overseas clinical trial that we have already received, and have created a draft application that was based to the extent possible on the Japanese and overseas clinical trial plan and results that we had obtained.

### 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  
該当なし

(3) 「国民との科学・技術対話社会」に対する取り組み

1. *N*-アセチルノイラミン酸 (aceneuramic acid) の開発－現状と今後の予定－, 島崎茂樹, 遠位型ミオパチー患者会総会, 2016/04/23, 国内

(4) 特許出願  
なし