

【治験の概要と目的】

<治験薬>

- 名称：EPI-589
- 投与方法：EPI-589(1錠 250mg)を1日6錠毎食前(それぞれ1時間以上前)に経口投与

<治験デザイン>

筋萎縮性側索硬化症(ALS)患者 10 名を対象とした非盲検単群医師主導治験(第 2 相)

<参加施設>

徳島大学・大阪大学・愛知医科大学

<目的>

- 本治験は ALS 患者を対象に、EPI-589 を用いた内服治療を行い、EPI-589 の有効性・安全性・バイオマーカーの評価を行う。
- 有効性の評価は ALSFRS-R スコア、治療期開始日から人工呼吸器装着または死亡までの期間、呼吸機能、筋力評価、Modified Norris Scale や ALSAQ-40 を用いる。
- 本治験の特徴として MRI・血液・髄液を用いたバイオマーカーの探索的評価が挙げられる。ALS の評価に有用なバイオマーカーを見つけ出すことで、ALS の病態を解明していくことも本治験の目的の一つである。
- EPI-589 はこれまで実施されている国内外の第 I、IIa 相の治験において重篤な副作用は確認されておらず、少数例での検討では ALS の進行抑制効果があることが示唆されている。

【被験者】

筋萎縮性側索硬化症の患者

【選択基準】

1. 本治験への参加について、本人より文書同意が得られた患者。同意取得時に未成年の場合、本人からの文書による同意取得に加えて、代諾者からも文書による同意を取得する。
2. 同意取得時の年齢が 18 歳以上、79 歳以下の患者
3. 改訂 El Escorial 基準の definite、probable 又は probable-laboratory supported に該当する孤発性 ALS と診断された患者（ただし、前観察期開始後に遺伝子解析で SOD1 等の原因遺伝子が明らかになった場合は、治験を継続する。）
4. スクリーニング時において発症後 1 年半以内の患者
5. 発症時点からスクリーニング時点までの ALSFRS-R 合計スコアの平均悪化速度*が 1 ヶ月平均で -0.3 点よりも速い患者（発症時点の ALSFRS-R 合計スコアが不明の場合は、

48点として平均悪化速度を計算する)

*平均悪化速度算出方法: (スクリーニング時の点数 - 発症時の点数) / 発症からスクリーニング時までの月数 (月数は、小数第2位を四捨五入し計算)

6. スクリーニング時において、ALSFRS-Rの全12項目が全て2点以上の患者
7. 7)スクリーニング時において、ALSFRS-Rの3つの呼吸項目(呼吸困難、起坐呼吸、呼吸不全)が全て4点の患者
8. スクリーニング時において、ALSFRS-Rの嚥下項目が3点以上の患者
9. スクリーニング時において、%SVCが80%以上の患者
10. 前観察開始時において、リルゾールを30日以上、同じ用法・用量で服用しているリルゾール併用患者
11. 外来通院が可能な患者
12. 採取した血液検体を用いて遺伝子解析を実施することに同意する患者

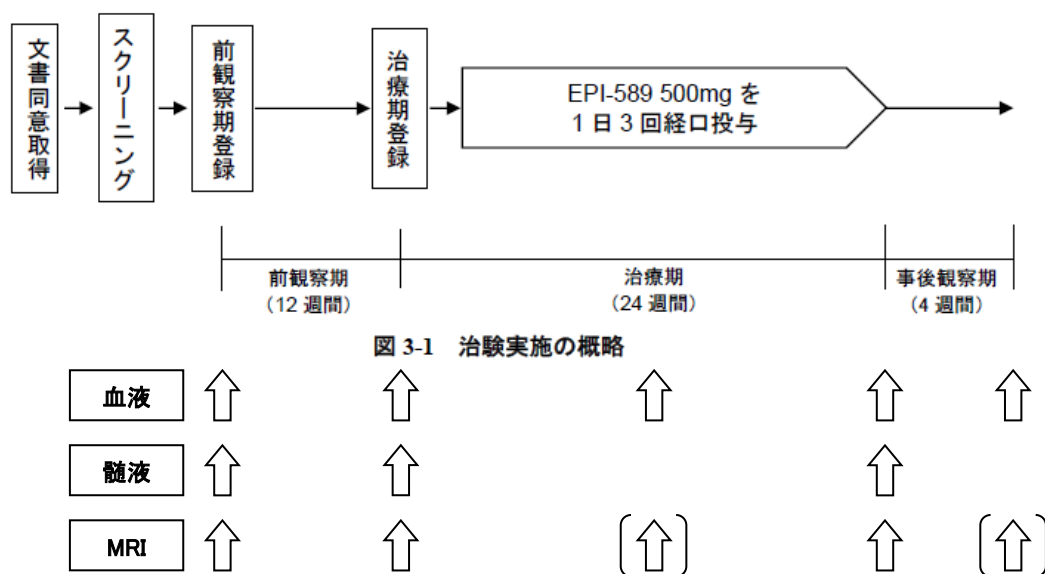
【除外基準】

1. 臨床的に意義のある重度のALS以外の合併症、既往症を有し、治験責任医師又は治験分担医師が治験の対象には不適切であると判断した患者
2. 精神疾患、認知機能障害、パーキンソン病を合併している患者
3. 気管切開を施行している患者
4. 非侵襲的呼吸補助装置を装着したことがある患者
5. 薬物アレルギー又は重度のアレルギー疾患(アナフィラキシーショック等)を既往又は合併している患者
6. 悪性腫瘍を合併している、又は同意取得前5年以内に既往歴を有する患者
7. 脳脊髄液(CSF)採取が実施困難な患者
8. MRI検査(MRS、拡散テンソル画像検査含む)が実施困難な患者
9. スクリーニング時において、AST、ALTが基準値上限の3倍以上の高値を示した患者
10. スクリーニング時において、CKが基準値上限の2.5倍以上の高値を示した患者
11. スクリーニング時において、推算糸球体濾過量(eGFR)が45 mL/min/1.73 m²未満であった患者
12. 妊婦、授乳婦又は妊娠している可能性のある患者
13. 患者本人又はパートナーが妊娠を希望している、又は同意取得時から治験薬の最終服用後30日までの期間、避妊を実施することに同意できない患者
14. 前観察期登録前30日以内にエダラポンを使用している患者
15. 同意取得日以降、リルゾールの用法・用量を変更、又は服用中止した患者
16. 過去にEPI-589を服用したことがある患者

17. 同意取得前に他の治験に参加し、かつ同意取得時点で他の治験薬投与から 30 日間経過していない患者（他の治験薬の半減期を 5 倍した日数が 30 日より長い場合は、半減期の 5 倍の日数が経過している必要有）又は同意取得時に他の治験に参加又は参加を予定している患者
18. 同意取得前に細胞治療、又は遺伝子治療を受けた患者
19. 治験責任医師又は治験分担医師が本治験への参加を不適当と判断した患者

上記の基準を満たす患者を対象に、スクリーニング時・前観察期登録時の適格性を判定し、12 週間の前観察期間後に前観察期終了時の適格性を判定します。治験に登録された被験者全例に EPI-589 を 1500mg/日 1 日 3 回毎食前(食事前 1 時間)投与する。治療期終了後、後観察期として 4 週間観察する。

本治験は探索的研究であり、ALSFRS-R などの臨床情報に加え、MRI・血液・髄液を対象としたバイオマーカー測定も複数行う。



【問い合わせ先】

徳島大学病院 治験調整事務局

〒770-8503 徳島市蔵本町 2 丁目 50-1

TEL : 088-633-9658 FAX : 088-633-7311

E-mail : chousei_EPI-589@umin.ac.jp

◇このほか、詳細につきましては下記 URL をご参照下さい。

EPI-589 の筋萎縮性側索硬化症を対象とした探索的試験(EPIC-ALS)HP

<https://epic-als.org/>