

## BIIB067のSOD1遺伝子変異を伴う筋萎縮性側索硬化症に対する

### 国際共同第Ⅲ相試験のお知らせ

バイオジェン・ジャパン(株)は、2019年7月よりBIIB067のSOD1変異を伴うALS（筋萎縮性側索硬化症）に対する国際共同試験を日本国内施設でも実施します。BIIB067はSOD1メッセンジャーリボ核酸（mRNA）をリボヌクレアーゼHを介して阻害するアンチセンス・オリゴヌクレオチド（ASO）であり、SOD1変異のあるALSの治療薬として開発が進められています。BIIB067はSOD1 mRNAの3' UTRの部位と結合しSOD1蛋白を減少させます。これが変異型SOD1の毒性を減じ、SOD1変異のあるALSの患者さんに、生存率と機能の改善を通じて潜在的な治療的ベネフィットをもたらすと考えられています。無作為化・プラセボ対照・用量漸増単回および連続投与の第I相試験の中間解析（n=70）では、最大用量のBIIB067を約12週間投与された治療群（n=10）において、脳脊髄液中のSOD1タンパク値の統計学的に有意な低下（ $P<0.01$ ）、およびALS機能評価尺度改訂版で評価した臨床的機能低下を緩慢化させる数値的な傾向が認められました。比較対象はいずれもプラセボ群です（n=12）。これらの結果に基づき、バイオジェンはBIIB067の承認申請に向けた第Ⅲ相臨床試験を開始することに致しました。

第Ⅲ相臨床試験は、SOD1-ALSを有する被験者にBIIB067を約24週間投与する無作為化二重盲検プラセボ対照比較試験となる計画で、登録終了は2019年11月の予定です。また、二重盲検期を完了し、継続投与を希望する被験者に対して最長252週間の治療を継続することを可能とする継続試験も計画しています。

目標症例数達成のため、日本神経治療学会員の皆様から治験参加施設への患者さんのご紹介に関してご協力をお願いできれば誠に幸いに存じます。大変お忙しいところ申し訳ありませんがどうぞよろしく願いいたします。

治験依頼者お問い合わせ窓口

バイオジェン・ジャパン株式会社

おくすり相談室

0120-560-086

---

◇詳細につきましては、[こちら](#) を御参照ください。

---