

BIIB067 の SOD1 遺伝子変異を伴う筋萎縮性側索硬化症に対する第Ⅲ相試験のお知らせ

2019年7月よりBIIB067のSOD1遺伝子変異を伴うALS（筋萎縮性側索硬化症）に対する治験が日本国内の5施設で実施中です。発症後の進行が早いALS患者さんを募集しておりますので、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いたします。

治験依頼者お問い合わせ窓口

バイオジエン・ジャパン株式会社

おくすり相談室

0120-560-086

BIIB067のSOD1遺伝子変異を伴う筋萎縮性側索硬化症に対する第Ⅲ相試験のお知らせ

2019年7月よりBIIB067のSOD1変異を伴うALS（筋萎縮性側索硬化症）に対する治験をバイオジエン・ジャパン株が日本全国5施設で実施しています。BIIB067はSOD1メッセンジャーRNA（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・単一および複数の用量漸増の第Ⅰ相試験の中間解析

（n=70）では、最大用量のBIIB067を3ヶ月投与された治療群（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=0.002）、およびALS機能評価スケール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、バイオジエンはBIIB067を承認申請に向けた検証的臨床試験を開始致しました。

第Ⅲ相臨床試験はSOD1-ALSを有する被験者を2:1（実薬：プラセボ）の比で無作為に割り付けてBIIB067を髄腔内投与するおよそ6か月間の無作為化二重盲検プラセボ対照比較試験です。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は非盲検の継続試験を計画しています。SOD1変異を確認するための遺伝子検査をスクリーニング期間中に実施いたしますので、登録前にSOD1変異が確定していない場合や家族歴が不明な場合でも、治験にご参加いただけます。

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お願ひいたします。

治験依頼者お問い合わせ窓口

バイオジエン・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、下記 URL を御参照ください。 (JapicCTI-194777)

<https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/Search.jsp>