

研究成果最適展開支援プログラム (A-STEP) FS ステージ (シーズ顕在化) 事後評価報告書

プロジェクトリーダー (企業責任者) : (株) レクメド

研究責任者 : 長崎大学 中村 龍文

研究開発課題名 : ポリ硫酸ペントサンの新規 HAM 治療薬開発に向けた検証的臨床研究

1. 研究開発の目的

神経難病として認定されている HTLV-I 関連脊髄症 (HAM) に対する治療には主として免疫修飾療法が用いられているものの、長期に亘る治療が余儀なくされている本疾患ではその成果はもとより、副作用などの安全性において満足が得られていないのが現状である。したがって、これに替わる新規治療薬開発が切望されている。今回、ポリ硫酸ペントサン投与による HAM に対する治療の有効性 (i) 下肢運動機能及び排尿機能の面からの本薬剤の皮下注射による HAM に対する治療効果 ii) 末梢血 HTLV- I プロウイルス量の面からの本薬剤の HAM に対する治療効果) と安全性を検討し、本薬剤が HAM の新規治療薬と成り得るかどうかを検証することを目的とした。

2. 研究開発の概要

①成果

今なお有効な薬剤がなく、患者さんから開発の要望の高い HAM の新規治療薬の開発を目的に、ポリ硫酸ペントサンの HAM に対する治療効果を検証することを目標にした臨床研究を長崎大学医学部において実施した。目標症例は 15 例であったが、スクリーニングの時点で 1 名が除外対象例で、残り 2 名は同意が得られず、12 名の患者さんを対象とした。本臨床研究では、患者さんの安全を第一とした体制で、週 1 回 8 週間のポリ硫酸ペントサンの皮下注射による HAM 患者における有効性と安全性が検討された。その結果、有効性に関しては、投与間隔等の関係から HTLV- I プロウイルスの減少は見られなかったが、下肢運動機能の有意な改善が確認され、今回の臨床研究を通して HAM に対する新規治療薬として本剤が有望であるとの確証を得た。また、試験期間を通じ、安全性に問題は見られなかった。

②今後の展開

A-STEP の実用化挑戦タイプ等の公的支援制度に応募し、「HAM の下肢運動機能改善」を適用とした早期の承認・販売をめざして、本剤が別の適用で国内第 II 相臨床試験 (治験) が進められている優位性を最大限活用した試験デザインで、臨床試験を実施する。また、引き続き長崎大学と協力し、上記適用に対する作用機序解明の研究を継続すると共に、HTLV- I プロウイルスの減少効果が期待できる投与方法 (併用療法も含む) の開発を進める。

3. 総合所見

目標通りの成果が得られ、イノベーションの創出が期待される。

12 名の HAM 患者を対象にした臨床研究で、排尿機能の有意な改善は認められなかったものの、下肢運動機能の有意な改善と薬剤の安全性が確認された点が高く評価される。今後は、作用機序解明をさらに進めるとともに、ウイルス (HTLV-1) 減少効果を示す投与法の開発を進め、新規 HAM 治療薬の早期開発に繋げることを期待する。