

先進医療審査の照会事項に対する回答 1

先進医療技術名：筋ジストロフィー心筋障害に対する TRPV2 阻害薬内服療法

2024年6月26日

所属・氏名：国立病院機構大阪刀根山医療センター・松村 剛

1. 研究者の先生方は AMED の CRT 事業で、TRPV2 阻害療法の次試験を実施しているかと思われま

す。
次試験の概略（本先進医療の試験結果をどう踏まえてデザインされているのか）及び現時点で想定している今後の薬事承認までのロードマップを提供してもらうことは可能か。

【回答】

TRPV2 阻害はモデル動物において骨格筋・心筋障害に有効で、既承認薬の tranilast に TRPV2 阻害効果があることが確認された。これまでのパイロット試験、先進医療による特定臨床研究で進行期心不全筋ジストロフィー患者において、Tranilastにより TRPV2抑制効果が長期にわたって維持されることが確認され、進行性疾患にもかかわらず心機能が維持され、投与中の患者で心不全死亡がなかったなど心機能維持・心イベント抑制効果が示唆された。一方で進行例を対象としたため、骨格筋障害に対する評価は行えていない。

次試験では臨床経過が均一で、運動機能（上肢機能）・呼吸機能・心機能が一定の速度で低下することが確認されている、10歳以上のデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者において tranilast による機能維持効果と安全性を評価する。Tranilast の骨格筋・早期心不全に対する臨床データは無いこと、上肢機能・呼吸機能・心機能は何れも生命予後、ADL・QOLに対する影響が大きいことから、これらを主要評価項目とした二重盲検プラセボ対照による探索試験を行う。過去に高用量で肝機能障害を高頻度に認めたことから、本試験では用量探索は行わず、保険用量とプラセボの2群で52週間試験治療を行い、有効性と安全性を評価する。

以上