

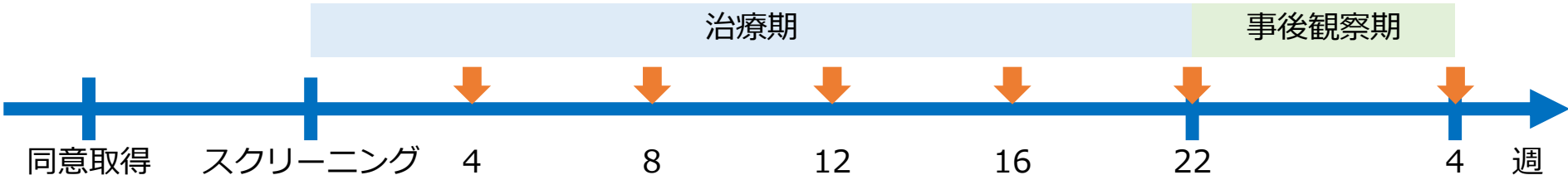
筋萎縮性側索硬化症に対するEPI-589の再投与の安全性に関する研究（概要図）

患-1
(参考資料1-1)
7. 6. 20

【目的】
筋萎縮性側索硬化症患者（ALS）で、過去にEPI-589を投与された患者を対象にEPI-589を再投与したときの安全性及び忍容性を検討する。

【対象】
筋萎縮性側索硬化症患者であって、過去に約24週間のEPI-589投与あり、かつ安全性及び忍容性に問題なく、外来通院可能な患者

【投与方法と評価スケジュール】
EPI-589 500 mg（EPI-589 250mg錠 2錠）を1日3回食前（朝食、昼食、及び夕食のそれぞれ1時間以上前）に経口投与する。投与期間は、治療期登録翌日から治療期22週時に規定された、全ての検査・観察の終了時までとする。有害事象は同意取得から事後観察期にわたって評価され、ALFRS-Rスコアなどは治療期4、8、12、16、22週時および事後観察期4週時に評価される。



【主要評価項目】 有害事象
【副次評価項目】 ALSFRS-Rスコア変化量及び変化率など

【目標症例数と研究期間】
目標症例数：3例
登録予定期間：jRCT公表日～2023年11月30日、実施予定期間：jRCT公表日～2024年12月31日

薬事承認までのロードマップ

技術名：筋萎縮性側索硬化症に対するEPI-589の再投与の安全性に関する研究

本邦における薬事承認
の状況

未承認

EPI589-15-001

試験

海外第II相試験

対象：筋萎縮性側索硬化症
患者
デザイン：非盲検単群試験
1000mg/日、3ヶ月
登録症例数：21例うち19例投与
実施期間：2016年1月～
2018年2月

DA350103

試験

国内第II相試験

対象：筋萎縮性側索硬化症
患者
デザイン：非盲検単群試験
1500mg/日、24週
登録症例数：10例
実施期間：2021年9月～
2023年10月

企業治験

(立案中)

第II、III相試験

対象：筋萎縮性側索硬化症
患者
デザイン：二重盲検比較試
験、投与量・投与期間は検
討中
登録症例数：検討中
予定期間：検討中

海外(米国等)における
薬事承認の状況

未承認

【患者申出療養】

技術名：筋萎縮性側索硬化症に対するEPI-589の再投与の安全性に関する研究
試験薬または試験機器：EPI-589
対象：DA350103試験を受け安全性、忍容性に問題のない
筋萎縮性側索硬化症患者
目的：EPI-589の再投与の安全性及び忍容性を評価
評価項目：安全性、改訂版ALS機能評価スケールによる有効性
予定期間：JRCT公表日～2024年12月
実施医療機関：大阪大学医学部附属病院

有用性が
認められた場合

参考資料等として使用

薬
事
承
認

開発中止

有用性が
認められなかった場合

安全性上の問題等で、実施継続が
不適切と考えられた場合

患者申出療養の取り下げ