

小児期発症難治性ステロイド抵抗性ネフローゼ症候群

同意取得・適格性判定

登録

最長14日間

●リツキシマブ療法

リツキシマブ375 mg/m<sup>2</sup>/回(最大投与量500 mg/回)

1週間間隔で4回投与

●ステロイドパルス療法(最大5クール)

1クールはコハク酸メチルプレドニゾロンナトリウム

30 mg/kg/日(最大投与量1000 mg/日) 静注投与3日間

試験期間:1年間

主要評価項目:完全寛解割合

追跡調査

試験全体終了時に一斉調査

# 薬事承認申請までのロードマップ

試験機器名：リツキシマブ（RTX）（製品名：リツキサン）

適応疾患：小児難治性ステロイド抵抗性ネフローゼ症候群（小児難治性SRNS）

## 臨床研究

- ・ 試験名：小児難治性SRNSに対するステロイドパルス療法と免疫抑制薬併用下でのRTX療法の観察研究
  - ・ 期間：2007年8月～2013年2月
  - ・ 被験者数：10人
  - RTX投与回数 4回2人、2回2人、1回6人
  - ・ 結果の概要：完全寛解7人、部分寛解1人、無効2人
- 観察期間（中央値35ヶ月）中、完全寛解した7人は腎機能正常で寛解維持（蛋白尿消失）

## 先進医療

- ・ 試験名：小児難治性SRNSを対象としたRTX＋ステロイドパルス療法の多施設共同臨床試験
- ・ 試験デザイン：単群介入試験
- ・ 期間：2014年9月～2018年8月
- ・ 被験者数：20人
- ・ 主要評価項目：試験治療開始後6ヶ月時の完全寛解割合
- ・ 副次評価項目：完全寛解までの期間、慢性腎不全移行割合、尿蛋白/クレアチニン比、末梢血B細胞枯渇期間、有害事象

薬事承認申請検討

## 欧米での現状

薬事承認：米国（無）、欧州（無）

ガイドラインの記載：（無）し

進行中の臨床試験：（無）

当該先進医療における

選択基準：小児難治性SRNS患者

除外基準：二次性ネフローゼ症候群患者

予想される有害事象：infusion reaction、高血圧、重症感染症等

申請に至らなければ

新しい試験デザインの先進医療または治験の追加を検討