

平成 29 年 7 月 13 日

整理番号 080「筋ジストロフィー心筋障害に対する TRPV2 阻害薬内服療法」
(国立病院機構刀根山病院) についてのコメント

上村 尚人

本日の先進医療技術審査部会を欠席させていただきますので、書面にて、コメントを提出させていただきます。

先進医療技術審査部会としてまずご議論いただきたいこととして、非常に少数、具体的には2例の先行研究で4年間の研究を組むことの妥当性かと思えます。

有効性に対する疑問のみならず、安全性の確保という観点でもご審議いただきたいと思えます。

個人的な意見としては、少数の患者、例えば6～10例を対象として短期間、例えば4週程度のPhase Ib試験を先行させて、安全にBNPを下げるができるかを見ていくのがスマートなオプションかと思えます。あるいは、事前評価でも申しましたとおり、この試験の中で、中間解析を実施してもらうというオプションもありかと思えます。

申請者らに、事前にそれらのオプションについて受け入れ可能かという照会をしましたところ、中間解析を行うことについては、受け入れ可能ということのようでございます。しかしながら、申請者からは、「治療前から24週後までのBNP変化量をprimary endpointとしており、これに合わせて24週時点で主要評価項目、副次評価項目、安全性について中間解析を行い、先進医療技術審査部会に報告する」というご提案がございました。24週のフルセットでは、すべての対象患者が長期にわたり試験薬に暴露されるまえに、研究の継続の判断をおこなうという中間解析の本来の目的が達成されないと感じます。部会として中間解析を行うことでも良いという判断にいたる場合には、例えば、8例が12週を迎えた時点とか、ある程度、患者数と期間を絞った形でお願いしたほうがよいと考えております。

多くの副次的あるいは探索的評価項目があがっています。それらの評価可能性については部会の議論の中で、循環器を専門にされている先生方のご意見も伺ってみたいと考えておりました。出席かなわず残念ですが、どうぞよろしくお願い申し上げます。