

筋萎縮性側索硬化症（ALS）治療薬開発を加速！ 日本発の新たな ALS 治験ガイドライン策定が始動

<ポイント>

1. ALS 治療薬の臨床評価ガイドラインを初作成

国内で ALS 治療薬の臨床評価に関するガイドラインが存在しない現状を打破し、プラットフォーム試験¹⁾やバイオマーカー²⁾の活用など最新の国際基準を取り入れたガイドラインを作成します。

2. 日本発の国際標準を目指す多分野連携プロジェクト

医療専門家、患者・市民、行政、製薬企業など多様なステークホルダーが連携し、日本語版および英語版のガイドラインを策定。国際的な ALS 治療薬開発の加速を目指します。

3. 研究への患者・市民の参画（PPI）を推進

2025 年 2 月 2 日（日）「患者・市民セミナー ALS の治療薬開発を学ぶ」を開催します。

<報道概要>

筋萎縮性側索硬化症（ALS）は進行性の神経変性疾患で、有効な治療薬の開発が急務とされています。しかし、国内では ALS の治験に関するガイドラインがなく、治験の国際連携や最先端手法の活用が十分に進んでいません。この課題に対応するため、日本発の「ALS 治療薬臨床評価ガイドライン」を策定するプロジェクトが始動しました。バイオマーカーの活用など最先端の内容を盛り込み、日本語版と英語版で公表し、ALS 治療薬開発を加速させます。研究への患者・市民の参画（PPI）を推進するため、2025 年 2 月 2 日（日）「患者・市民セミナー ALS の治療薬開発を学ぶ」を開催します。

ALS 治療薬の新しい可能性を探る

筋萎縮性側索硬化症（ALS）は、運動ニューロン³⁾が進行的に破壊される難治性の神経変性疾患で、発症から 3～4 年で人工呼吸器装着や死亡に至る深刻な病気です。現在、国内で承認されている治療薬はリルゾール、エダラボン、メコバラミン、トフェルセンのみですが、その効果は限定的であり、さらなる治療法の開発が急務となっています。

特に、ALS 治験に関する指針が日本には存在しないことが、薬の承認プロセスにおける遅れ（ドラッグラグ）や、海外で使える薬が日本で使えないドラッグロスを引き起こす要因となっています。この課題に応えるため徳島大学は日本医療研究開発機構（AMED）の委託により、ALS 治療薬の臨床評価ガイドライン作成プロジェクトを立ち上げました。

ガイドライン作成の目標と進め方

この研究では、欧州医薬品庁（EMA）や米国食品医薬品局（FDA）が発表しているガイドラインをふまえ、最先端の評価手法を日本版ガイドラインとして整備します。さらに、このガイドラインを英語版として公開し日本国内のみならず国際共同治験にも対応可能な環境を構築します。

主な目標は次のとおりです：

1. プラットフォーム試験やアダプティブ試験⁴⁾をふくむ試験デザインへの指針提供。
2. バイオマーカーを活用した評価方法の確立。
3. 国際共同治験における日本の参画を促進するための環境整備。

これにより、治験の効率を高め、患者の負担を軽減しながら、有効性と安全性の評価を進めることが期待されます。

ガイドラインの目次案

- I. 緒言
- II. 臨床評価方法
 1. 臨床試験デザイン
 2. 対象集団
 - 選択基準および除外基準の設定
 3. 治験実施医療機関
 4. 有効性評価
 - 主要評価項目、副次評価項目
 - バイオマーカーの活用
 - 統計学的に考慮すべき事項
 5. 安全性評価 有害事象
 6. 併用薬および併用療法の設定
 7. 被験者背景の記録
 8. 小児、遺伝性 ALS を対象とした臨床試験
- III. 臨床試験
 1. 臨床薬理試験
 2. 探索的試験
 3. 検証的試験
 4. 長期投与試験
 5. 製造販売後調査等

患者・市民セミナー開催：ALS 治療薬開発を学ぶ

2025 年 2 月 2 日（日）、AMED 研究班主催による患者・市民セミナーが品川で開催されます。このセミナーでは、ALS の治療薬開発や治験の仕組みについて、専門家による講演やディスカッションを通じて学ぶ機会を提供しま

す。患者やその家族を含む幅広い層に向け、オンライン参加も可能なハイブリッド開催です。

■日時 令和7年2月2日（日）13：00～17：00

■会場 対面会場とオンラインのハイブリッド開催

品川シーズンテラスカンファレンス

（〒108-0075 東京都港区港南1丁目2-70 品川シーズンテラス 3F）

オンライン試聴（Zoom）

■参加費 無料（事前登録制）

■プログラム

進行 藤田 浩司（徳島大学）

13:00 開会挨拶 和泉 唯信（徳島大学）

13:05 【第1部】 患者・市民と治療薬開発 座長：青木 正志（東北大学）

➤ 患者・市民参画（PPI）とは：医療研究開発の「社会共創」に向けて 勝井 恵子（日本医療研究開発機構）

➤ ALSの治療薬開発の現状 和泉 唯信（徳島大学）

➤ 薬の有効性と安全性の評価のしかた 平川 晃弘（東京科学大学）

13:50 休憩

14:05 【第2部】 治験のくふうを学ぶ 座長：佐久嶋 研（北海道大学）

➤ 希少がんのMASTER KEY プロジェクト 大熊 ひとみ（国立がん研究センター中央病院）

➤ レジストリがつなぐ患者さんと新薬のキズナ 三澤 園子（千葉大学）

➤ 海外ALS治験の動向 狩野 修（東邦大学）

14:50 休憩

15:05 【第3部】 ALSの症状を評価する 座長：清水 俊夫（東京都立神経病院）

➤ ALSの症状変化のとらえかた 熱田 直樹（愛知医科大学）

➤ 患者・介護者による症状評価 小早川 優子（九州大学）

➤ 医薬品の有効性評価の考え方 山岸 洸太（医薬品医療機器総合機構）

15:50 休憩

16:05 【第4部】 意見交換 座長：熱田 直樹（愛知医科大学）

16:55 閉会挨拶 和泉 唯信（徳島大学）

■申込方法 申込フォーム（<https://forms.gle/u45EKn6o5jvcny9c8>）にアクセスし、必要事項を記入してください。≪締切：1月30日≫

■主催 日本医療研究開発機構 医薬品等規制調和・評価研究事業「筋萎縮性側索硬化症に対する治療薬の臨床評価ガイドライン作成に関する研究」

■共催 日本医療研究開発機構 医薬品等規制調和・評価研究事業「国内マスタープロトコル試験の実施に関する規制的、統計的、実務的課題の検討とその適正利用のためのガイドライン作成」

※詳細は添付ちらしをご覧ください。

ぜひ事前のイベント告知、当日の取材のほどよろしくお願いいたします。

未来を切り拓くために

ALS 治療薬の開発と普及を目指す本プロジェクトは、日本国内のみならず、国際的な治療研究の進展に大きく貢献することを目指しています。本ガイドラインが完成すれば、患者がより迅速に治療を受けられる環境が整うだけでなく、ALSに限らず他の希少疾患への応用も期待されます。

【用語解説】

- 1) プラットフォーム試験：臨床試験の一種です。1 つ以上の患者タイプ／疾患について、1 つ以上の治療法を評価する臨床試験です。
- 2) バイオマーカー：身体の状態や疾患の有無を示す生物学的な指標のことで、診断や予後などに関する様々なバイオマーカーがあります。
- 3) 運動ニューロン：中枢神経系（脳・脊髄）からの運動情報を伝える神経細胞や経路のことです。
- 4) アダプティブ試験：臨床試験に参加された被験者の蓄積されたデータに基づいて、予め計画された変更を行うことができる臨床試験です。

お問い合わせ先

大学院医歯薬学研究部臨床神経科学分野

担当者 教授 和泉 唯信

電話番号 088-633-7207

メールアドレス yizumi@tokushima-u.ac.jp