

# 治験の概要

## 前治療歴を有する IDH1 変異陽性の切除不能又は転移性胆管癌を有する日本人患者を対象としたイボシデニブの第 II 相試験

**治験の科学的名称：**前治療歴を有する IDH1 変異陽性の切除不能又は転移性胆管癌を有する日本人患者を対象としたイボシデニブ経口投与の第 II 相、非盲検、多施設共同試験

治験に参加いただいた皆様にお礼申し上げます。科学の進歩や患者さんの利益のためには治験参加者の方々のご協力が欠かせません。

この文書は治験の概要です。専門家でない一般の方々に向けた内容となっています。

どのお薬が最も効果があり、かつ患者さんにとって最も安全なのかを明らかにするためには多くの治験が必要となります。医学の進歩のために、世界中で患者さんを対象とする多くの治験が行われています。この概要では、たった 1 件の治験の主な結果を示しているにすぎません。同じお薬を評価している他の治験では結果が異なる可能性もあります。この治験の結果を受け、現在受けている治療を変更しないようにしてください。この治験に関してご不明な点がございましたら、担当医にご相談ください。

治療領域：  
がん

疾患：  
胆管がん

治験の相：  
第 II 相

初版  
2025 年 4 月 14 日

この治験は進行中です（この概要は 2024 年 10 月 1 日までのデータをもとに記載しています）

### この概要に記載されている内容：

1. この治験が行われた理由
2. この治験が行われた時期と国
3. この治験の参加者
4. 参加者が受けた治療
5. この治験の実施方法
6. この治験でみられた副作用
7. この治験の結果
8. この治験が研究にもたらした成果
9. さらなる治験実施予定の有無
10. その他の情報

# 治験の概要

前治療歴を有する IDH1 変異陽性の切除不能又は転移性胆管癌を有する日本人患者を対象としたイボシデニブの第 II 相試験

## 1 この治験が行われた理由

この治験は、進行性胆管がん（胆管細胞がん）の一種を有する日本人の患者さんを対象に、イボシデニブ（S95031またはAG-120）と呼ばれるがんのお薬について調べるために実施されました。胆管とは肝臓から腸に胆汁を運ぶ細い管です。胆汁は食べ物の中の脂肪を消化するのに役立ちます。

胆管がんのようないくつかの種類のがんでは、イソクエン酸デヒドロゲナーゼ-1（IDH1）と呼ばれるタンパク質に突然変異と呼ばれる変化が起こり、異常な形となって存在することがあります。IDH1が変異すると、通常は細胞内に少量しか存在しない2-ヒドロキシグルタル酸（2-HG）が過剰に作られます。2-HGが過剰に存在すると、正常な細胞の機能が変化し、がん細胞になることがあります。

イボシデニブは、異常なIDH1タンパク質の働きを阻害するお薬で、がん細胞内の2-HG濃度を正常に戻します。イボシデニブは、胆管がんや血液のがんの治療薬として多くの国で既に承認されているお薬です。

この治験の主な目的は、IDH1に変異がある進行性胆管がんの日本人の患者さんを対象として、イボシデニブがどの程度の効果があるかを確認することでした。

## 2 この治験が行われた時期と国

### 治験の実施時期

- この治験は2023年10月に開始されました。
- 治験は現在も継続中ですが、この概要は2024年10月1日までに収集された情報をもとに記載しています。

### 治験実施国

この治験は日本で実施されました。

## 3 この治験の参加者

### 治験の参加基準

この治験の参加基準は以下のとおりでした。

- 18歳以上
- 以下のような胆管がんを有する方：
  - IDH1 変異陽性
  - 手術では取り除けない（切除不能）、または身体の他の部位に転移している（転移性）
- これまでに1~2種類の抗がん剤を使用したことがあり、効果が認められなかった
- 血液、腎臓、肝臓の機能に問題がない
- IDH タンパク質の働きを阻害するお薬を過去に使用したことがない

### 治験参加人数

計12名（女性5名、男性7名）

### 参加者の年齢

参加者の平均年齢は62歳でした。最年少は45歳、最年長は80歳でした。

## 4 参加者が受けた治療

参加者は、「サイクル」と呼ばれる期間中にイボシデニブ（治験薬）の投与を受けました。1サイクルは28日間からなり、がんが進行せず、参加者に重度の副作用が認められない限り、この28日間のサイクルを繰り返して治験を実施しました。参加者はご自身の判断でいつでも治療を中止することができました。

参加者はイボシデニブの錠剤を1日1回500mg服用しました。

また、参加者は胆管がんに対する通常の治療も継続して受けました。

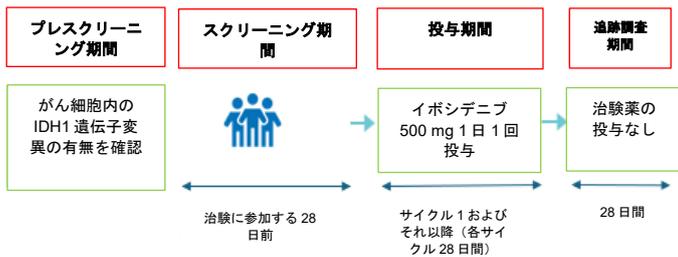
# 治験の概要

前治療歴を有する IDH1 変異陽性の切除不能又は転移性胆管癌を有する日本人患者を対象としたイボシデニブの第 II 相試験

## 5 この治験の実施方法

この治験は「非盲検」試験と呼ばれます。これは、参加者と治験担当医師の両方が、受けた治療の内容を知っているということです。

治験デザインを下の図に示します。



この治験は、プレスクリーニング期間から始まりました。プレスクリーニング期間では、参加を希望する方に IDH1 変異があるかどうかを医師が確認しました。その後、最長 28 日間のスクリーニング期間が設けられました。この期間中、医師はこの治験への参加を希望する方が、必要な条件をすべて満たしているかどうかを確認しました。

スクリーニング期間後、参加者は投与期間に移行し、1日1回イボシデニブの投与を受けました。

投与終了後、治験薬の最終投与から 28 日後に追跡調査来院を実施しました。この来院では、医師が参加者の健康状態を確認しました。

参加者には定期的に医師の診察を受けていただきました。また、診察時に、医師は参加者の健康状態に関する情報を収集しました。

## 6 この治験でみられた副作用

副作用とは、治験での治療によって生じたと医師が判断する好ましくない医学的事象です。

この概要では、イボシデニブが原因であると考えられた好ましくない医学的事象について説明します。

この治験に関する他の文書では、結果の記載方法が異なる場合があります。

下の表に副作用がみられた参加者数を示します。

	イボシデニブ (12名中)
副作用がみられた参加者	8名 (67%)
重篤*な副作用がみられた参加者	2名 (17%)
副作用により治療を中止した参加者	0名

\*後述の重篤な副作用の定義をご覧ください

### 副作用の種類

下の表にこの治験で報告された副作用を示します。

	イボシデニブ (12名中)
心拍リズムに影響を及ぼす心臓の電気的活動の異常 (QT 延長)	3  (25%)
下痢	1  (8%)
口内乾燥	1  (8%)
吐き気	1  (8%)
全体的に気分が悪い	1  (8%)
じんましん	1  (8%)
口内の炎症や痛み	1  (8%)
食欲低下	1  (8%)
血液中のカリウム濃度の低下	1  (8%)
発疹	1  (8%)
嘔吐	1  (8%)
疲労感	1  (8%)

= 名 (の参加者)

# 治験の概要

前治療歴を有する IDH1 変異陽性の切除不能又は転移性胆管癌を有する日本人患者を対象としたイボシデニブの第 II 相試験

## 重篤な副作用とは

副作用は、以下のような場合に重篤と判断されます。

- 入院が必要
- 長期の傷害または死亡を引き起こす
- 参加者の生命が危険にさらされる
- 医師の見解により医学的に重要と判断される

下の表にこの治験で報告された重篤な副作用を示します。

	イボシデニブ (12名中)
心拍リズムに影響を及ぼす 心臓の電氣的活動の異常 (QT延長)	2  (17%)

 = 名 (の参加者)

この治験では、イボシデニブが原因と考えられる好ましくない事象により死亡した参加者はいませんでした。

## 7 この治験の結果

この概要に記載されている結果には、**2024年10月1日までに収集された情報**が含まれます。

この文書では、治験の主な目的に対する結果のみを記載しています。その他の結果に関しては、「10 その他の情報」に記載したウェブサイトでご確認いただけます。

治験は現在も継続中で、治験の完了後に詳細な分析が行われます。

この治験の主な目的は、IDH1 に変異がある進行性胆管がんの日本人の患者さんを対象として、イボシデニブがどの程度の効果があるかを確認することでした。

また、この治療を実施した6ヵ月間でがんの悪化を止めることができたかどうかを調べました。

この治験では、独立した専門家グループが参加者の医療画像を調べ、がんが増殖したかどうかを確認しました。これにより、正確かつ公正な結果であることが保証されます。

その結果、参加者の4分の1 (25%) において、イボシデニブによる治療開始後6ヵ月までがんの悪化が見られなかったことが示されました。

平均的な参加者では、がんが悪化するまでの期間は約2.7ヵ月でした。

## 8 この治験が研究にもたらした成果

この治験の結果、イボシデニブは胆管がんの悪化を防ぐ役に立つことが示され、この治験の主な目的は達成されました。イボシデニブの投与を受けた日本人の患者さんの25%において、投与開始後6ヵ月までがんの悪化が見られなかったことが示されました。これは、他の国で実施された過去の大規模試験 (AG120-C-005) の結果と類似しています。

これらの結果から、イボシデニブは、IDH1 に変異がある進行性胆管がんの日本人の患者さんの治療に有効かつ安全な治療薬であることが示唆されました。イボシデニブには、AG120-C-005 試験で認められたものと同様の利益とリスクがあります。

この治験結果は、がん治療におけるイボシデニブの理解を深める上でも役に立つものです。

なお、この概要では、たった1件の治験の主な結果を示しているにすぎません。同じお薬を評価している他の治験では結果が異なる可能性もあります。

## 9 さらなる治験実施予定の有無

イボシデニブに関する臨床試験は現在進行中であり、さらなる治験の実施が予定されています。

# 治験の概要

前治療歴を有する IDH1 変異陽性の切除不能又は転移性胆管癌を有する日本人患者を対象としたイボシデニブの第 II 相試験

## 10 その他の情報

### 治験の識別番号

- 治験実施計画書番号 : CL2-95031-008
- 米国 NCT 番号 : NCT06081829

### 治験依頼者

この治験を企画し、資金を提供した会社（「治験依頼者」といいます）は、フランスにある Institut de Recherches Internationales Servier 社です。

### 治験依頼者の連絡先

Servier 社のウェブサイト（<https://servier.com/en/>）からお問い合わせください。

### 治験の詳細の確認先

この治験に関する詳細情報は、以下のウェブサイトからご覧いただけます。

- <https://clinicaltrials.servier.com/find-clinical-trials/>
- <http://www.clinicaltrials.gov/>

治験に関する全般的な情報は、以下のウェブサイトからご確認いただけます。

<https://clinicaltrials.servier.com/>