

治験概要

未治療の急性リンパ性白血病と新たに診断された患者を対象とした SHP674 (ペグアスパラガーゼ) の臨床試験。

治験の科学的名称: 未治療の急性リンパ性白血病と新たに診断された患者を対象とした SHP674 第 2 相臨床試験。

本治験にご参加いただいた皆様に感謝を申し上げます。治験にご参加いただくことによって、科学は進歩し、多くの患者さんの利益が生み出されます。

そのため、標題の治験の概要を一般の方にも知っていただく目的で本文書を作成致しました。

研究者は、患者さんにとってどの薬が最も効果的で、最も安全であるかを知るために、多くの治験を行います。医学の進歩を目指して、世界中で多くの治験が行われ、多くの患者さんにご参加いただいています。本概要では、標題に示す 1 本の治験の結果をご紹介しますが、同じ薬を対象とした他の治験では結果が異なる場合がありますので、本治験の結果のみをもって、現在の治療を変更することは避けてください。なお、この治験について質問がある場合は、担当医師にご相談ください。

治療領域：
腫瘍学

疾患：
急性リンパ性白血病

治験の相：
CL1-95014-001

24/02/2023

最終版

この概要の内容：

1. この治験はなぜ行われたのですか？
2. この治験はいつ、どこで行われましたか？
3. この治験に誰が参加しましたか？
4. 参加者はどのような治療を受けましたか？
5. 治験はどのように実施されましたか？
6. どのような副作用がありましたか？
7. 治験の結果はどうでしたか？
8. この治験は研究にどのように役立ちましたか？
9. 今後、さらなる治験を行う計画はありますか？
10. 詳細情報について

治験概要

未治療の急性リンパ性白血病と新たに診断された患者対象とした SHP674(ペグアスパラガーゼ)の臨床試験

1 この治験はなぜ行われたのですか？

この治験は、急性リンパ性白血病(ALL)の小児患者さんを対象に、ペグアスパラガーゼの承認を日本で取得するために実施されました。ペグアスパラガーゼは、ALLの治療薬として多くの国で既に承認されています。

白血病は血液のがんで、発生すると、異常な白血球が急速かつ無秩序に増加します。ALLは小児の患者さんで診断されるがんの中で最も多いがんです。ALLという白血病は、がん化した未熟な血液細胞がどこにあったものなのかによって定義されます。

この治験薬は、ペグアスパラガーゼと呼ばれるアスパラギナーゼ製剤の一種です。ALLのがん細胞は、生存するためにアスパラギンと呼ばれる血中の物質を必要としますが、アスパラギナーゼ製剤は、そのアスパラギンを分解します。アスパラギナーゼ製剤は、ALLの治療薬として日本でも既に使用されていますが、ペグアスパラガーゼは、さらにアレルギーのリスクを低く抑え、体内にとどまる能力が向上するように改良されていますので、投与回数をこれまでより減らすことができます。

この治験は第2相試験であり、第1部と第2部から構成されています。

主な目的は以下の通りです。

- 第1部では、小児から青年期の日本人患者さんを対象に、ペグアスパラガーゼを1回投与したときの安全性を調べる。
- 第2部では、初回注射の14日後に血中の「血漿アスパラギナーゼ活性」を測定し、薬の活性を確認すること。

2 この治験はいつ、どこで行われましたか？

治験はいつ実施されましたか？

- この治験は2019年10月に開始されました。
- 2022年2月に終了しました。

治験はどこで行われましたか？

この治験は日本で実施されました。

3 この治験に誰が参加しましたか？

治験にはどのような患者さんが参加しましたか？

参加者には、以下の参加条件がありました。

- 1～21歳であること。
- 体調が良好であること。
- 初めてALLと診断されていること。
- 抗がん剤による治療を受けたことがないこと。

治験の参加者は何名ですか？

28名の小児から青年期の患者さんがこの治験に参加しました。26名の患者さんが治療を受けました(女性13名および男性13名)。

- 治験の第1部では3名が参加。
- 治験の第2部では23名が参加。

参加者は何歳でしたか？

参加者の平均年齢は5歳で、最年少は1歳、最年長は17歳でした。

4 参加者はどのような治療を受けましたか？

この治験薬の日本での現在の名称は、ペグアスパラガーゼ(製品コード SHP674 または S95014)です。

各患者は、同じペグアスパラガーゼ溶液の静脈内投与を受けました。

ペグアスパラガーゼの用量は体表面積(BSA)に基づいて決定されました。BSAは参加者の身長と体重から算出されます。

- BSAが0.6平方メートル(m²)を超える場合、用量はBSAのm²あたり2500国際単位(IU)でした。

- BSAが0.6m²未満の場合、用量は体重1kgあたり82.5IUでした。

さらに、すべての参加者は、このがんの治療に通常使用される他の薬の投与も受けました。

治験概要

未治療の急性リンパ性白血病と新たに診断された患者対象とした SHP674 (ペグアスパラガーゼ) の臨床試験

5 治験はどのように実施されましたか？

この治験は「非盲検試験」と呼ばれます。これは、患者さんと治験担当医師のいずれも、患者さんが受けた治療を知っていることを意味します。

これは「単群」試験です。これは、すべての患者さんが、同じ治療を受けたことを意味します。

この治験は第1部と第2部から構成されていました。第1部では、ペグアスパラガーゼを小児及び青年期の患者さんに安全に投与できるかどうかを確認するために治験薬を投与しました。

第2部では、第1部で安全性が確認された用量のペグアスパラガーゼを投与しました。第2部の目的は、薬の活性を確認することでした。

患者は、医学的基準に従って3つの群(標準リスク、中リスク、高リスク)に分けられました。

すべての患者さんがペグアスパラガーゼの投与を受けました。リスク群に応じて、ペグアスパラガーゼの注射回数および投与期間を計画しました。

- 標準および中リスク群: 患者さんは10ヵ月間にわたりペグアスパラガーゼの投与を3回受けました。

- 高リスク群: 患者は11ヵ月間にわたりペグアスパラガーゼの投与を8回受けました。

6 どのような副作用がありましたか？

副作用とは、治験での治療が原因で発現した可能性があると医師が考える、好ましくない医学的事象です。

この概要では、ペグアスパラガーゼが原因と考えられる好ましくない医学的事象について説明します。本治験に関連する他の文書では、結果の表現が異なる場合があります。

以下の表に、第1部および第2部で副作用が認められた参加者の数を示します。

	合計 (26名中 )
副作用が認められた患者さん	26 (100%)
重篤な副作用が認められた患者さん	2 (7.7%)
副作用により治療を中止した患者さん	3 (11.5%)

*以下の重篤な副作用の定義をご覧ください

副作用の種類は何ですか？

以下の表は、この治験で第1部および第2部の参加者の30%以上で報告された、最も一般的な副作用を示しています。

	合計 (26名中 )
フィブリノゲン(血液凝固に必要)と呼ばれるタンパク質の減少	19  (73.1%)
アンチトロンビンIII(血液凝固の予防に必要)と呼ばれるタンパク質の減少	15  (57.7%)
白血球数の減少	15  (57.7%)
「血小板」と呼ばれる血液の凝固を助ける細胞の数が減少	14  (53.8%)
赤血球の数が減少	11  (42.3%)
「好中球」と呼ばれる白血球の不足をとまなう発熱	11  (42.3%)
脱毛	10  (38.5%)
血中タンパク質濃度の低下	10  (38.5%)
嘔吐	10  (38.5%)
気分が悪くなる	8  (30.8%)
脂肪の一種であるトリグリセリドの血中濃度の上昇	8  (30.8%)

 = 参加者

治験概要

未治療の急性リンパ性白血病と新たに診断された患者対象とした SHP674 (ペグアスパラガーゼ) の臨床試験

重篤な副作用にはどのようなものがありましたか？

副作用は、以下の場合に重篤とみなされます。

- 参加者の入院が必要になる場合
- 長期の傷害または死亡の原因となった場合
- 患者さんの生命が危険にさらされる場合
- 医師の意見で医学的に重要とみなされる場合

この治験の第 1 部では、重篤な副作用(本治験ではペグアスパラガーゼが原因と考えられる、重篤で好ましくない医療的事象)は認められませんでした。

治験の第 2 部では、2 名 (7.7%) の患者さんに重篤な副作用が認められました。報告された重篤な副作用は、嘔吐と急性の肺炎でした。

本治験では、ペグアスパラガーゼが原因考えられる好ましくない事象により死亡した患者さんはいませんでした。

7 治験の結果はどうでしたか？

治験は計画通り完了しました。

この文書には、治験の主な目的に対する結果のみが記載されています。他の結果は、セクション 10 に紹介されている他の文書から入手できます。

第 1 部では、ペグアスパラガーゼを 1 回投与したときの安全性を評価することが主な目的でした。

重度の毒性が認められた患者さんはいませんでした。これは、第 2 部でペグアスパラガーゼを安全に投与できることを意味します。

第 2 部では、血中の「血漿アスパラギナーゼ活性」を測定することにより、薬の活性を確認することが主な目的でした。

初回注射から 14 日後に、すべての患者さんで「血漿アスパラギナーゼ活性」の良好な濃度が認められました。これは、血液中の白血病細胞が生存する能力が低下したことを意味します。

8 この治験は研究にどのように役立ちましたか？

この治験で得られた知見は、急性リンパ性白血病の日本人小児患者さんに対する治療薬の承認を得るために用いられます。

9 今後、さらなる治験を行う計画はありますか？

ロシアでもう 1 件、小児及び青年期の患者さんを対象としたペグアスパラガーゼの臨床試験が進行中です。

10 詳細情報について

この治験の識別番号は何ですか？

- 治験実施計画書コード: SHP674-201/CL1-95014-001
- EudraCT 番号: 2022-002190-28
- 米国 NCT 番号: NCT04067518

どなたが治験を行いましたか？

この治験を企画し、資金を提供した「スポンサー(治験依頼者)」と呼ばれる会社は、フランスのシュレーヌにある Institut de Recherches Internationales Servier です。

治験依頼者にはどのように連絡できますか？

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

この治験の詳細について、どこで確認できますか？

この治験に関する詳細情報は、以下のウェブサイトでご確認いただけます。

- <https://clinicaltrials.servier.com>
- <https://www.clinicaltrialsregister.eu>
- <https://www.clinicaltrials.gov>

治験に関する一般的な情報は以下のウェブサイトでご確認いただけます。<https://clinicaltrials.servier.com/>