

ポリニューロパチーを伴う遺伝性トランスサイレチン型アミロイドーシス (ATTRv-PN) 患者を対象とした
新規の siRNA 製剤 Nucesiran の第 III 相試験について

日本末梢神経学会 会員各位

Alnylam Pharmaceuticals 社ではポリニューロパチーを伴う遺伝性トランスサイレチン型アミロイドーシス (ATTRv-PN) 患者さんを対象に、新規の siRNA 製剤 Nucesiran の有効性及び安全性を検討する国際共同試験を実施しており、本治験にご参加いただける患者さんを募集しております。日本末梢神経学会会員の先生方から治験参加施設への患者さんのご紹介に関してご協力をお願いできれば幸いに存じます。

「治験の情報」をご覧ください、該当患者さんがいらっしゃる場合には、以下の情報を Alnylam 社の治験国内管理人である株式会社新日本科学 PPD (治験開発受託機関) の臨床試験窓口 (crgPPDSNBL-9-ALN-ALN-TTRSC04-004JapanCRA@thermofisher.com) までご連絡ください。候補となる患者さんにつきましては近隣の治験実施施設へのご紹介をさせていただきます。尚、詳細な選択・除外基準の確認の結果、本治験へご参加いただけない可能性もございますこと、ご承知おきいただけますと幸いです。

メールのタイトル：新規 siRNA 製剤 Nucesiran の国際共同第 III 相試験の患者募集について (対象疾患：ポリニューロパチーを伴う遺伝性トランスサイレチン型アミロイドーシス)
氏名：
施設名：
連絡方法 (メールアドレス、電話番号 [もしあれば連絡可能な曜日・時間] など)：

治験の情報

開発相	国際共同第 III 相試験 (無作為化、非盲検試験)
主な選択基準	<ul style="list-style-type: none">・ 18~85 歳の患者・ TTR 変異が記録された ATTRv-PN の診断を受けている患者・ NIS (神経障害評価スコア) が 5 以上 130 以下 (四肢のしびれ程度~明確な筋力低下、歩行困難のある方)・ PND (多発性神経障害) スコアが 3b 以下 (重症度が両側の杖や歩行器で歩行可能な程度までの方)・ KPS (カルノフスキー機能状態スコア) が 60%以上 (全身状態が、「身の回りのことは概ね可能だが、一部介助を要する程度より状態」より状態が良い方)
主な除外基準	<ul style="list-style-type: none">・ 肝臓移植の既往がある又は本治験の投与期間中に肝臓移植を受ける可能性がある・ hATTR 以外の型のアミロイドーシス又は軟膜アミロイドーシスの臨床エビデンスを有する・ NYHA 分類 2 超の心不全を有する・ 1 型糖尿病の既往がある、または 2 型糖尿病を 5 年以上罹患している患者・ TTR を減少させる治療 (例: patisiran、vutrisiran、inotersen、eplontersen、若しくは TTR を標的とする遺伝子療法) を以前に受けたことがある、又は現在受けている患者
治験参加期間	最長 50 ヶ月 (妊娠可能な女性の場合は 62 ヶ月間) と推定され、最長 1.5 ヶ月間のスクリーニング、最長 36 ヶ月間の投与 (投与期間並びに継続投与期間)、及び治験薬

	の最終投与後最長 12 ヶ月間（妊娠可能な女性被験者の場合は 24 ヶ月間）の安全性追跡調査期間から構成されます。
主要評価項目	・ Month 9 時点での外部プラセボ群（APOLLO 試験）と比較した、補正神経障害スコア+7（mNIS+7）のベースラインからの変化量
主な副次評価項目	<ul style="list-style-type: none"> ・ Norfolk QoL-DN の総スコア変化量 ・ mBMI 変化量 ・ Rasch-built 全般身体障害スケール（R-ODS）変化量 ・ 10 メートル歩行試験（10-MWT） ・ 有害事象（AE）の発現頻度

◇本試験の詳細につきましては、下記 URL をご参照ください。

ClinicalTrials.gov

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT07223203>

臨床研究等提出・公開システム（jRCT）

<https://jrct.mhlw.go.jp/latest-detail/jRCT2031250851>

治験難病ウェブ

[難病治験ウェブ | jRCT2031250851 | ポリニューロパチーを伴う遺伝性トランスサイレチン型アミロイドーシス（ATTRv-PN）患者を対象とした Nucleoside の有効性及び安全性を評価する国際共同無作為化非盲検第 III 相試験](#)

ATTRv-PN 患者さんの治療向上のため、皆様のご協力を何卒よろしくお願い申し上げます。