

主治医の先生へ

治験用の遺伝子治療用製品（導入遺伝子：AAV.GTX-ADAR2）を用いました「孤発性筋萎縮性側索硬化症（孤発性ALS）を対象とした医師主導治験」の参加基準は次の通りになります。

この基準をご参考にされまして、対象となる可能性のある患者さんがおりましたら、当院へご紹介をお願い致します。

自治医科大学附属病院

リハビリテーション科

森田 光哉

【主治医の先生へのお願い】

- ◆ 紹介される場合は、紹介状およびチェックリストが必要になります
- ◆ 患者さんへは、あらかじめ相談窓口ご連絡してから来院するようにお伝えください

< 選択基準 >

1. 改訂版El Escorial Airlie House診断基準でのClinically Definite ALS, Clinically Probable ALS、または、Clinically Probable-Laboratory Supported ALSに該当すると診断された患者
2. 同意取得時においてALS発症後2年以内の方
3. 同意取得時点における年齢が40歳以上、79歳未満の方
4. ALSと診断された血縁者（家族、親族）がいない方
5. 同意取得後の観察期間開始時に改訂ALS Functional Rating Scale（ALSFRS-R）スコアが37点以上で、かつ、いずれの項目にも2点以下がない方。
ただし、「12. 呼吸不全」の項目は4点が必須です（1点から3点の方は本治験に参加できません）。
6. 同意取得後の観察期間（12週間）中にALSFRS-Rスコアの合計点数が2点以上低下する可能性があるかと判断される方
7. 治験製品投与前後の入院（2週間程度）及び頻回の外来診察が可能な方
8. 妊娠可能な女性およびその男性パートナーの場合は、試験期間中適切な避妊法を用いる意思のある方
9. 患者さん本人からの文書同意が得られる方

<除外基準>

1. 気管切開を施行している方
2. ALSに関連して非侵襲的呼吸補助装置を装着したことのある方
3. 努力性肺活量（%FVC）が60%以下の方
4. 慢性閉塞性肺疾患を有する方
5. 同意取得後の観察期間開始時に、Modified Norris Scale球症状尺度の項目において一つでも2点未満の項目がある方
6. 腰椎穿刺が困難な以下の背景を有する方
 - 1) 蓋内圧亢進
 - 2) 腰椎の変形疾患等
 - 3) 出血傾向
7. MRI検査ができない方
8. 重度の薬物アレルギーを有する方、または、重度のアレルギー疾患（アナフィラキシーショック等）の既往歴あるいは合併症を有する方
9. 以下の疾患を合併している方、または、その疑いのある方
 - 1) 髄膜炎、脳室炎
 - 2) 腰部の皮膚感染症
 - 3) 菌血症、敗血症
10. 臨床的に認知機能障害が疑われる方
11. 悪性腫瘍を有する方
12. コントロール不良の糖尿病を合併している方
13. CTCAE ver.5.0に基づくGrade 3以上の呼吸器疾患、心血管疾患、肝疾患または腎疾患を有する方
14. 同意取得前12週以内に他の治験又は介入を伴う臨床研究に参加している方
15. 妊婦または妊娠している可能性のある方

<併用禁止薬・禁止療法>

同意取得後の観察期間開始4週間前（治験製品投与日の16週間前）から評価期間終了までは以下の薬剤又は治療法が禁止されています。

- 1) 併用禁止薬
 - ・エダラボン（筋萎縮性側索硬化症治療薬、脳保護薬）
 - ・ペランパネル水和物製剤（抗てんかん薬）
 - ・ロピニロール塩酸塩製剤（パーキンソン病治療薬）
 - ・ボスチニブ水和物製剤（慢性骨髄性白血病治療薬）
 - ・他の治験薬、治験機器および治験製品等

2) 併用禁止療法

- ・脳、脊髄、腰椎に対する外科的治療

<併用制限薬>

以下の薬剤は併用可能ですが、同意取得後の観察期間開始2週間前（治験製品投与日の14週間前）から評価期間終了までは、薬剤の新規開始、用法用量の変更、または、中止をすることができません。

- ・リルゾール（筋萎縮性側索硬化症治療薬）

<治験期間>

治験期間は以下の通りになります。

- 1) 事前観察期間：本登録前最大12週間
- 2) 評価期間：事前観察期間終了後～治験製品投与後24週間

なお、本治験終了後は別途計画する臨床試験により治験製品の投与から5年の期間、患者さんの安全性等を確認します。

注：その他、治験責任医師又は治験分担医師が本治験の対象として不相当と判断した方はご参加いただけません。また、観察期間中に症状の悪化等により選択基準を満たさなくなった場合も本治験にご参加いただけません。

※お問合せは下記の相談窓口までご連絡ください。

【相談窓口】

自治医科大学附属病院臨床研究センター

電 話：0285-35-3373

受付日時：月曜日～金曜日（ただし、祝日は除く）

9:00～12:00、13:00～17:00