



日本イーライリリー株式会社
〒651-0086
神戸市中央区磯上通 7-1-5
www.lilly.co.jp

2016年2月吉日

一般社団法人 日本筋ジストロフィー協会
理事長 貝谷 久宣様

日本イーライリリー株式会社
広報・CSR本部
本部長 北野 美英

タダラフィル第Ⅲ相臨床試験に関する最新の情報について

拝啓、ますますご清栄のこととお慶び申し上げます。平素は格別のご愛顧を賜り厚くお礼申し上げます。この度、米国イーライリリーが米国の患者支援団体に宛てた手紙の日本語訳をご提供致します。なお、本文は一部、削除、改変または追記している部分がありますことをご了承ください。

デュシェンヌ筋ジストロフィー(以下DMD)の患者、約330例を対象としたタダラフィルの第Ⅲ相臨床試験について、残念なニュースをお知らせします。先日、本試験のプラセボ対照・二重盲検期の初回のデータ解析を行いました。残念ながら、48週間の期間で、プラセボと比較してタダラフィルが6分間歩行距離(6MWD)の低下を遅延させるという有効性のエビデンスは認められませんでした。本試験では、ノース・スター歩行能力評価やタイムドテスト(10メートル歩行/走、床からの立ち上がり、4段上り)という運動機能の副次的評価項目も設定されていましたが、どの評価項目についても有効性のエビデンスは認められませんでした。また、ベースラインの疾患重篤度が異なる男児を対象とした6MWD主要評価項目のサブグループ解析においても、有効性のエビデンスは認められませんでした。この試験の最終的な有効性および安全性データの解析は、今後数週間のうちに完了する予定です。

本試験で、タダラフィル1日1回投与が、プラセボと比較して疾患進行の遅延に対して有意な効果を示すというエビデンスが示されなかったことから、非盲検延長(OLE)期は中止されます。この決定は、試験実行委員会でDMD研究の専門家との協議により行われ、OLEを中止することが、試験に参加している全ての患者さんとそのご家族にとって最良であると専門家の同意を得ました。全治験責任医師にこの決定が伝えられ、患者さんの治験中止に関するガイダンスが提供されました。

初回解析の結果によれば、有害事象は、タダラフィルの既知の安全性プロファイルおよびDMD疾病状態に起因するものと一致していました。心臓MRIを受けた男児27例のサブスタディーでは、タダラフィル群の左室容積の平均増大率はプラセボ群に比べて大きいという結果でしたが、心臓超音波検査による左室駆出率など心機能のその他のマーカーはプラセボ群と同様でした。これらの知見の臨床的解釈と意義を理解するため、DMD関係の心臓病専門医による更なる解析が続けられています。

本試験結果は前臨床・臨床データに基づいた重要かつ緊急な疑問に対して明確な答えを出しています。機能的尺度、QOL、臨床検査値、心機能測定値、筋イメージングのデータを含む、この試験で得られた新しいデータが、DMDについての理解を深め、将来の臨床試験のデザインに活用されることを望みます。

敬具