

神経型ゴーシェ病患者を対象とした 医師主導治験開始について

鳥取大学医学部附属病院 脳神経小児科の研究グループ（前垣 義弘教授、成田 綾助教）は、神経型ゴーシェ病に対する新規治療薬（アンブロキソール塩酸塩を用いたシャペロン療法）の研究開発を行ってきました。この度、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に治験計画届を提出し、医師主導治験を開始いたします。

【治験の名称】

神経型ゴーシェ病患者を対象としたアンブロキソール塩酸塩（JT408T）を用いたシャペロン療法の有効性及び安全性を評価する第Ⅱ/Ⅲ相オープン試験（Japan- Lysosomal Optimization Study: J-LO study）

【治験の目的】

本治験の目的は、神経症状のあるゴーシェ病の患者さんを対象として、アンブロキソール塩酸塩（治験治療薬 JT408T）を用いたシャペロン療法を行った際の有効性と安全性を確認することです。また、本治験で得られた結果は、厚生労働省に提出し、神経症状のあるゴーシェ病に対する治療薬として製造販売承認を得るために用いることも目的としています。

治験に関する情報は、以下のページをご覧ください。

公益社団法人 日本医師会 治験促進センター 臨床試験登録システム（JMACCT CTR）

https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/JMACCT/App/JMACCTRE02_04/JMACCTRE02_04.aspx?kbn=3&seqno=9301

【本治験に関する問い合わせ先】

治験調整事務局

鳥取大学医学部附属病院 新規医療研究推進センター

担当：遠藤／山本

TEL：0859-38-6946

E-mail：gaucher-tuh@c-ctd.co.jp