

臨床試験一覧

結節性硬化症および関連疾患に対する国内外の臨床試験情報を紹介しています。これらの臨床試験(一部、すでに終了)により、新たな結節性硬化症の治療法が実用化されていく可能性があります。今後、新規の治験情報についても、順次掲載していく予定です。

2013年12月10日より、大阪大学医学部附属病院皮膚科外来で、結節性硬化症の顔面の血管線維腫に対するラパマイシン外用薬(塗り薬)の治験が開始されることになりました。詳細に関しましては、治験責任医師 大阪大学医学部附属病院皮膚科 金田眞理先生 までお問い合わせ下さい(連絡先 大阪大学医学部附属病院 (代表 06-6879-5111) 皮膚科外来)。なお、本治験は厚生労働省の難治性疾患克服研究事業のサポートにより行われております。

国内の臨床試験一覧

| 試験名 | 対象疾患 | 登録年月 (試験期間) |
|---|-------------------|----------------------------------|
| 結節性硬化症の顔面血管線維腫に対するラパマイシン外用薬の有用性評価 | TSCに伴う顔面血管線維腫 | 2013年12月10日～ |
| 治療抵抗性の部分発作がみられる結節性硬化症(TSC)患者の補助療法としてRAD001の2つのトラフ濃度範囲における有効性及び安全性を評価する3群、ランダム化、二重盲検、プラセボ対照試験 http://rctportal.niph.go.jp/detail/jp?trial_id=JapicCTI-132131 | TSCに伴う治療抵抗性部分発作 | 2013年5月21日 (2012年11月～2016年2月) |
| 硬化症(TSC)又は孤発性リンパ脈管筋腫症(S-LAM)患者の血管筋脂肪腫治療におけるRAD001についてのランダム化、二重盲検、プラセボ対照比較試験 http://rctportal.niph.go.jp/detail/jp?trial_id=JapicCTI-101220 | TSC-AML、S-LAMにAML | 2011年10月20日 (2010年8月～2014年1月) |

| | | |
|---|----------------------|----------------------------------|
| 結節性硬化症、尋常性白斑およびその他の先天性白斑に対するラパマイシン外用療法の開発のための臨床試験 http://rctportal.niph.go.jp/detail/um?trial_id=UMIN000006108 | TSCに伴う白斑、尋常性白斑、先天性白斑 | 2011年8月3日 (2011年8月～2015年3月) |
| 結節性硬化症の皮膚病変に対するラパマイシンの局所外用療法の開発 http://rctportal.niph.go.jp/detail/um?trial_id=UMIN000002844 | TSCに伴う皮膚病変 | 2009年12月3日 (2009年9月～) |
| リンパ脈管筋腫症のラパマイシン療法 http://rctportal.niph.go.jp/detail/jm?trial_id=JMA-IIA00011 | TSC-LAM、S-LAM | 2007年6月29日 (2007年3月～2010年12月) |

AML: 血管筋脂肪腫、S-LAM: 孤発性リンパ脈管筋腫症、TSC: 結節性硬化症、TSC-LAM: 結節性硬化症に伴うリンパ脈管筋腫症

海外の臨床試験一覧

| 試験名 | 対象疾患 | 登録年月 |
|--|---------------------|-----------------------------|
| | | (試験期間) |
| Early Biomarkers of Autism in Infants With Tuberous Sclerosis Complex (TSC) | 乳児 TSC (自閉症に関して) | 2013年1月(2013年1月～2017年12月) |
| Efficacy of RAD001/Everolimus in Autism and NeuroPsychological Deficits in Children With Tuberous Sclerosis Complex (RAPIT) | TSCに伴う認知障害、自閉症、学習障害 | 2012年10月(2012年11月～2016年11月) |
| A Placebo-controlled Study of Efficacy & Safety of 2 Trough-ranges of Everolimus as Adjunctive Therapy in Patients With Tuberous Sclerosis Complex (TSC) & Refractory Partial-onset Seizures (EXIST-3) | TSCに伴う治療抵抗性部分発作 | 2012年10月(2013年5月～2016年2月) |
| Tuberous Sclerosis Complex: Facial Angiofibroma Skin Cream | TSCに伴う顔面血管線維腫 | 2013年4月(2013年6月～2015年11月) |

| | | |
|---|-------------------------------------|---|
| Potential EEG Biomarkers and Antiepileptogenic Strategies for Epilepsy in TSC | 乳児 TSC(てんかんに 関して) | 2013 年 1 月(2012 年 9 月～2016 年 12 月) |
| Official Record of Patients Diagnosed With Lymphangiomyomatosis (LAM) | LAM、TSC-LAM | 1999 年 11 月(1998 年 12 月～2003 年 4 月) |
| Sirolimus in Treating Patients With Angiomyolipoma of the Kidney | TSC-AML、LAM-AML | 2005 年 8 月(2005 年 6 月～2010 年 4 月) |
| Tuberous Sclerosis Complex Natural History Study: Renal Manifestations | TSC-AML | 2007 年 12 月(2008 年 2 月～ 2012 年 12 月) |
| Trial of RAD001 and Neurocognition in Tuberous Sclerosis Complex (TSC) | IQ60 以上の TSC(神 経認知機能に関して) | 2011 年 2 月(2011 年 1 月～ 2013 年 12 月) |
| Efficacy and Safety of RAD001 in Patients Aged 18 and Over With Angiomyolipoma Associated With Either Tuberous Sclerosis Complex (TSC) or Sporadic Lymphangiomyomatosis (LAM) | TSC-AML、S-LAM に 伴う AML | 2008 年 11 月(2009 年 4 月～2014 年 12 月) |
| Everolimus (RAD001) Therapy for Epilepsy in Patients With Tuberous Sclerosis Complex (TSC) | TSC に伴うてんかん | 2010 年 2 月(2010 年 5 月～2015 年 3 月) |
| Everolimus (RAD001) Therapy of Giant Cell Astrocytoma in Patients With Tuberous Sclerosis Complex | TSC-SEGA | 2006 年 12 月(2006 年 12 月～ 2015 年 12 月) |
| Rapamycin Therapy for Patients With Tuberous Sclerosis Complex and Sporadic LAM | TSC-LAM、 S-LAM | 2007 年 4 月(2002 年 12 月～2006 年 3 月) |
| Efficacy and Safety of Everolimus (RAD001) in Patients of All Ages With Subependymal Giant Cell Astrocytoma Associated With Tuberous Sclerosis Complex (TSC) | TSC-SEGA | 2008 年 12 月(2009 年 8 月～2014 年 11 月) |
| Topical Rapamycin Therapy to Alleviate Cutaneous Manifestations of Tuberous Sclerosis Complex (TSC) and Neurofibromatosis I (NF1) | TSC に伴う血管線維 腫、神経線維腫症に 伴う血管線維腫 | 2009 年 12 月(2009 年 12 月～2011 年 6 月) |

| | | |
|--|---|-----------------------------|
| Long Term Follow Up for RAD001 Therapy of Angiomyolipomata in Patients With Tuberous Sclerosis (TSC) and Sporadic Lymphangioleiomyomatosis (LAM) | TSC-AML、S-LAMに伴うAML | 2008年11月(2008年12月～2013年12月) |
| Study of Skin Tumors in Tuberous Sclerosis | TSC(皮膚の腫瘍に関して) | 2000年1月(2000年1月～) |
| Trial of Efficacy and Safety of Sirolimus in Tuberous Sclerosis and LAM(TESSTAL) | TSC-AML、S-LAMに伴うAML | 2007年6月(2005年10月～2009年9月) |
| RAD001 Therapy of Angiomyolipomata in Patients With TS Complex and Sporadic LAM | TSC-AML、S-LAMに伴うAML | 2007年4月(2005年8月～2013年7月) |
| Sabril for Complex Partial Seizures in Adult Tolerability Study (TS) Patients(STARS: TS) | TSCに伴う複雑部分てんかん | 2010年12月(2010年8月～2013年12月) |
| Studies of Autistic Patients: Gene Networks and Clinical Subtypes | TSCに伴う自閉症、TSCを伴わない自閉症 | 2010年3月(2010年3月～) |
| Topical Rapamycin to Erase Angiofibromas in TSC | TSCに伴う顔面血管線維腫 | 2012年2月(2012年5月～2013年8月) |
| Effect of Fasting on the Size of Abdominal Lymphatic Tumors in Women | LAMに伴う腹部または骨盤のリンパ管腫瘍(TSCの有無を問わない) | 2007年11月(2007年10月～) |
| Rapamycin In Angiomyolipomas In Patients With Tuberous Sclerosis | TSC-AML | 2010年10月(2008年10月～2011年5月) |
| Doxycycline In Lymphangioleiomyomatosis (LAM) | TSC-LAM、S-LAM | 2009年10月(2009年7月～2013年6月) |
| Study of the Disease Process of Lymphangioleiomyomatosis | LAM、気胸、TSC-LAM | 1999年11月(1995年9月～) |
| Role of Genetic Factors in the Development of Lung Disease | TSC(肺病変に関して、以下同)、AAT欠損症、COPD、嚢胞性線維症、サルコイドーシス、マイコバクテリア感染、嚢胞性肺疾 | 1999年199611月(年6月～) |

| | | |
|--|--|--|
| | 患、リンパ脈管筋腫症、リンパ管疾患、気胸の既往、肺線維症、喘息、ヒスチオサイトーシス X、糖尿病 | |
|--|--|--|

S-LAM: 孤発性リンパ脈管筋腫症、SEGA: 上衣下巨細胞性星細胞腫、TSC: 結節性硬化症、TSC-AML: 結節性硬化症に伴う腎血管筋脂肪腫、TSC-LAM: 結節性硬化症に伴うリンパ脈管筋腫症、TSC-SEGA: 結節性硬化症に伴う上衣下巨細胞性星細胞腫

参考資料

臨床研究（試験）情報検索 (<http://rctportal.niph.go.jp/>)

Clinical Trial Gov. (<http://www.clinicaltrials.gov/>)