

(別紙1)

## 総括研究報告書

課題番号	2021B-2						
研究開発課題名	慢性肉芽腫症腸炎に対する新規治療薬の開発に関する研究						
分類※	<input type="checkbox"/> ①	<input checked="" type="checkbox"/> ②	<input type="checkbox"/> ③	<input type="checkbox"/> ④	<input type="checkbox"/> ⑤	<input type="checkbox"/> ⑥	<input type="checkbox"/> ⑦
区分	<input type="checkbox"/> A	<input checked="" type="checkbox"/> B	<input type="checkbox"/> C	<input type="checkbox"/> E	<input type="checkbox"/> S		
主任研究者	所属	免疫科					
	役職	診療部長					
	氏名	河合利尚					
実施期間	2023年 4月 1日 ~ 2024年 3月 31日						

※分類は下記①～⑦より選択

- ① 日本の成育分野の疾患の研究の基盤となる研究
- ② 診断、治療及び予防法の開発に関する研究
- ③ 発症機序や病態の解明等を行う研究
- ④ 診断や治療のための基準の開発等に関する研究
- ⑤ 患児・者のQOL向上に結びつく研究
- ⑥ 研究的視点や技術をもつ医療従事者を育てるための研究  
(プロトコル作成のフェージビリティ研究)
- ⑦ 政策提言に結びつく研究

### 成果の概要

慢性肉芽腫症 (CGD) は感染症を繰り返す重症の原発性免疫不全症であり、約半数の CGD 患者は広義の炎症性腸疾患 (IBD) と考えられる CGD 関連炎症性腸疾患 (CGD 腸炎) を合併する。本疾患では、消化器専門医により専門的な診断や治療効果判定なども求められる。従来、IBD に準じたステロイド治療や免疫抑制剤治療が行われているが、CGD-IBD では確立された治療法はない。特に、CGD ではステロイドや免疫抑制剤治療によって感染症の危険性が著しく悪化することが課題であった。サリドマイドは選択的抗炎症作用が期待される薬剤で、欧州では小児の IBD において治療効果が報告されている。今回、CGD 腸炎と診断された 1 歳以上の患者を対象として、サリドマイドの有効性及び安全性をプラセボと比較する目的で、多施設共同医師主導治験『慢性肉芽腫症に関連する腸炎患者を対象としたサリドマイド口腔内崩壊錠のプラセボ対照二重盲検ランダム化比較試験』を実施した。本試験はスクリーニング期、二重盲検期、継続投与期、追跡期の 4 期で構成されるランダム化二重盲検並行群間比較試験である。2023 年度までに目標被験者数 8 名を組み入れ、全被験者の臨床試験を終了した。臨床試験終了後に症例検討会を開催し、研究代表者および研究分担者で臨床経過を検証してデータを固定した。今年度、当初の計画に従い症例データの検証、データ固定、二重盲検の開鍵、統計解析、治験薬血中濃度解析、総括報告書の作成を行なった。主要評価項目および副次評価項目の解析、重篤

な副作用は認められなかったことから、CGD 腸炎における被験薬（サリドマイド）投与の有効性及び安全性が示唆された。なお、本治験では、「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」および「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」に基づき、施設のモニタリングを実施した。