



本資料は、中外製薬と戦略的アライアンスを締結しているエフ・ホフマン・ラ・ロシュ社が3月22日（バーゼル発）に発表したプレスリリースの一部を和訳・編集し、参考資料として配布するものです。正式言語が英語のため、表現や内容は英文が優先されることにご留意ください。

原文は、<https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2021-03-22b.htm>をご覧ください。

2021年3月26日

各位

## tominersen の顕性ハンチントン病に対するプログラムの最新情報について

ロシュ社は3月22日、顕性ハンチントン病（HD：Huntington's disease）を対象に実施中の tominersen の第 III 相 GENERATION HD1 試験において、投与中止を決定したことを発表しました。本決定は、事前に計画された独立データモニタリング委員会（iDMC：independent Data Monitoring Committee）による非盲検下で実施した第 III 相臨床試験のデータレビュー結果に基づくものです。iDMC は、試験参加者に対する本剤の潜在的なリスク・ベネフィットプロファイルを踏まえ本勧告を行いました。本試験のデータレビューにおいて、tominersen に関する新たな安全性上の懸念は示されませんでした。今後、ロシュ社は、本剤およびプラセボの投与は行わず、試験参加者の安全性および臨床転帰についてフォローアップを継続する予定です。ロシュ社は、今後第 III 相臨床試験のすべてのデータに基づく解析を実施した後に、得られた知見や今後の計画について、ハンチントン病のコミュニティと共有する予定です。

本試験の詳細なデータ解析により次のステップが明らかになるまでの間は、tominersen の非盲検延長試験（GEN-EXTEND 試験）における投与を一時中断します。

tominersen の第 I 相 PK/PD 試験（GEN-PEAK 試験）および自然経過観察試験は継続します。

### GENERATION HD1 試験について

GENERATION HD1 試験は、顕性ハンチントン病を対象に、およそ 25 カ月間にわたり tominersen の有効性および安全性を評価する多施設共同無作為化二重盲検プラセボ対照第 III 相臨床試験です。試験参加者は、tominersen 120 mg を 2 カ月ごと、または 4 カ月ごとに髄腔内投与する群、プラセボ投与群にそれぞれ無作為に割り付けられました。本試験には、世界 18 カ国から 791 人が登録されています。

### tominersen について

tominersen は、変異型を含むハンチンチンタンパク質（HTT：huntingtin protein）の産生を抑制するよう設計されたアンチセンスオリゴヌクレオチドです。

### ハンチントン病について

ハンチントン病は、舞踏運動を主体とする不随意運動、精神症状、認知症を伴って発現する遺伝性疾患です<sup>1</sup>。CAG リピート配列が伸長した変異型ハンチンチン遺伝子から翻訳される変異型 HTT が蓄積し、毒性を示すと考えられています<sup>2</sup>。ハンチントン病の根治治療はなく、不随意運動や精神症状に対する対症療法が一般的です。国内の患者数は令和元年度特定医療費受給者証所持者数が 911 人おり<sup>3</sup>、有病率は人口 10 万人あたり 0.7 人と、欧米に比較して 1/10 の稀な疾患です<sup>1</sup>。

## 参考情報

tominersen の国内開発は中外製薬が実施しており、日本から GENERATION HD1 試験に参加しています。

## 出典

1. 難病情報センター. Available from: <https://www.nanbyou.or.jp/>. Accessed March 2021
2. Walker FO. Huntington's disease. Lancet 2007;369(9557):218-28
3. 特定医療費（指定難病）受給者証所持者数，対象疾患・都道府県別．厚生労働省衛生行政報告例（令和元年度末現在）. Available from: <https://www.nanbyou.or.jp/wp-content/uploads/2021/03/koufu20201.pdf> Accessed March 2021

以上