

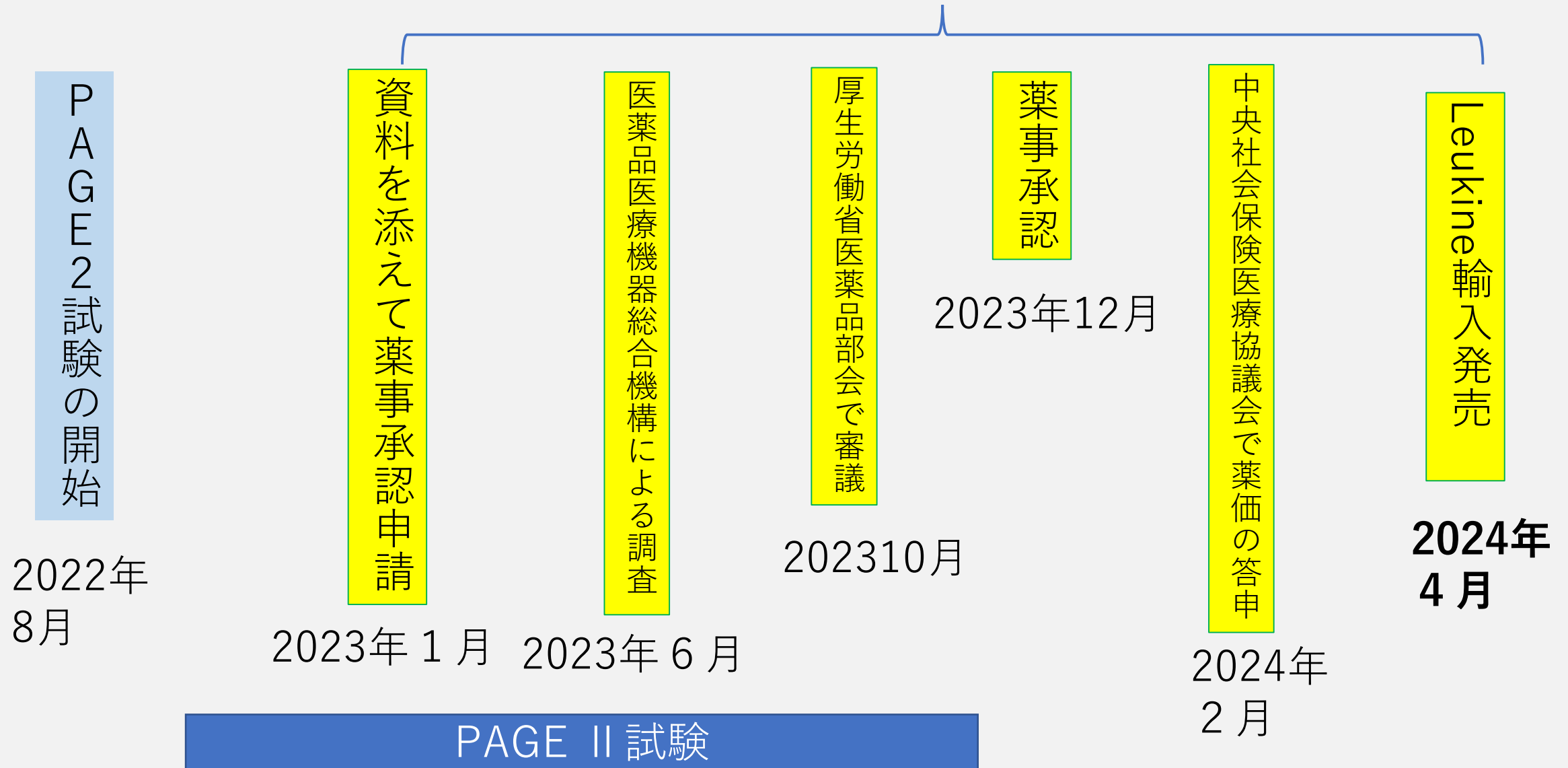
# 中等・重症の自己免疫性肺胞蛋白症 の患者さんの治療を目的とした PAGE II 試験の説明



2022/06/22

# 薬事承認までの間、中等・重症の自己免疫性肺胞蛋白症 の治療を目的として臨床試験を行う。

ノーベルファーマ社による薬事承認申請と発売



# PAGE II 試験を行う理由（目的）

- ◆ 毎年重症者の患者や家族、主治医からのleukine吸入療法の問い合わせがある。
- ◆ その度に『来年には、Leukineの薬事承認→発売』と説明してきた。
- ◆ ノーベルファーマ社が製造販売元であるパートナーセラピューティクス社と契約したことで、一段と上市の実現性が高まったが、工場の移転などで、当初の発売の予定（2021第四四半期）から2年以上遅れている。
- ◆ この空白を埋めるために、中等重症の患者さんに対して特定臨床研究を行います。

# 我が国の自己免疫性肺胞蛋白症の現況

- 我が国に3300人推定
- 毎年、211人の新発生すると予想  
このうち、
- 重症度1：26%（55人推定）
- 重症度2：26.9%（57人推定）
- 重症度3：24.7%（52人推定）
- 重症度4：16.7%（35人推定）
- 重症度5：5.4%（11人推定）

治療対象は、重症度3～5 の計 98人

緊急性があるのは、重症度4, 5の計 46人

年間の全肺洗浄術を受ける症例数が推定約30人

◆**肺胞蛋白症の重症度とは**、安静にしてあおむけで動脈の血液を医師が採って、検査室で酸素の分圧（酸素の量）を測ります。その値が70mm水銀柱未満で60mm水銀柱以上の場合は重症度が**3**、60mm水銀柱未満50mm水銀柱以上は重症度が**4**、50mm水銀柱未満が重症度**5**とされます。健康な人の動脈の中の酸素の圧は80mm～95mm水銀柱です。

## 試験を実施する施設（2022年6月22日時点）

- ・北海道大学病院
- ・新潟大学医歯学総合病院
- ・福島県立医科大学附属病院
- ・千葉大学医学部附属病院
- ・杏林大学医学部附属病院
- ・京都大学医学部附属病院
- ・近畿中央呼吸器センター
- ・神戸市立医療センター中央市民病院
- ・愛知医科大学病院
- ・倉敷市立市民病院
- ・大分大学医学部附属病院
- ・熊本大学病院

以上12病院です。

今後、他の病院も増えてくる可能性があります。

# 中等・重症の自己免疫性肺胞蛋白症の治療を 目的とするPAGE II 試験の概要

- 患者救済を優先する。
- 重症度3-5の患者を組み入れる。重症者を優先する。
- 投薬または観察期間 **48週間**
- 試験期間**2年間** +  $\alpha$  (薬事承認をもって終了)
- 年間30例(2年**60例**)
- Vial数 全7000vials (前半 60例 x 84vial、後半 12例 x 168 vial)
- 12週でLeukine /溶解液のキットの使用実感調査 (アンケート) を実施
- 受診は12週毎 (visit間は、かかりつけ医対応) 全部で5回 病院にかかります。
- 使用する吸入器はAerogen社 ULTRA

# 特定臨床研究（PAGE II 試験）のプロトコール

