

# 軟骨無形成症を 対象とした治験のご紹介

## 治験の目的

今回の治験は、軟骨無形成症に対する治験薬の有効性や安全性を調べることを目的としています。使用する治験薬は、「オリゴヌクレオチド（核酸）」という成分を含む薬の候補であり、まだ日本で承認された医薬品ではありません。

まずはじめに「観察試験」に参加いただき、身長伸びを含む臨床的基礎データを取得します。続いて「前期第Ⅱ相試験」では、治験薬を投与した場合の有効性及び安全性について、観察試験で得たデータと比較することで、探索的な評価を行います。更に「長期投与試験」では、治験薬を長期間投与した場合の有効性及び安全性を評価します。

## 治験の対象となる患者様

- 遺伝子検査で軟骨無形成症と診断されている方
- 治験開始時の年齢が5～14歳の方
- 介護なしで正常な生活が営める方

※上記以外にも試験毎に参加基準がございます。  
参加基準に合わない持病をお持ちの方など、治験にご参加いただけない場合がございます。

## 治験の**対象外**となる患者様

- 軟骨無形成症以外の原因で低身長をきたしている方
- 軟骨無形成症以外の先天性疾患がある方
- 観察試験の開始前3ヵ月以内に成長ホルモンやボックスゾゴ®の治療を受けている方
- 四肢延長手術を受けた方
- 成長板が閉鎖している方
- 手術を行わなければならないほどの合併症や、合併症に伴う神経症状がある方

※ 上記以外にも試験毎に除外基準がございます。  
※ 除外基準に1つでも抵触した場合、治験にご参加いただくことはできません。

## 治験の流れ



- 今回の治験では、軟骨無形成症の小児の患者様に初めて治験薬を投与するため、低用量のコホートから投与を始め、安全性を確認した上で、投与量を増加させたコホートへ移行する方法をとっております。そのため、どちらのコホートになるのかは選択できません。
- 治験期間中、使用に制限がある薬剤がございます。
- 治験期間中、通常診療よりも採血量が多くなる場合がございます。
- 患者様は治験に参加されることに同意された後でも、いつでも治験の参加をやめることができます。その場合でも、医師が適切に診察、検査を行いますので、不利な扱いを受けることはありません。

担当医師の判断により、途中で治験が中止となる場合もございます。患者様の安全性の確保を目的として、**診療情報の提供**をお願いする場合がございます。

連絡先：株式会社リボミック info@ribomic.com

プライバシーは厳守されます。治験の実施にあたっては、医師の管理のもと、ご参加いただく方の安全性とプライバシーの保護を第一に行われます。個人情報保護法に基づき、個人情報は厳重に守られます。

※上記内容の無断転載を禁じます。引用・転送する場合は、本文の記載内容を一切変更せず、必ず原典のリンクを記載してください。

RIBOMIC

# 軟骨無形成症の小児患者さんを対象とした 観察試験について

軟骨無形成症の小児患者さんを対象とした観察試験が、株式会社リボミックにより、全国の複数施設で実施されております。本製剤は軟骨無形成症の小児患者さんに初めて投与する治験薬で、本治験は軟骨無形成症の小児患者さん14例に対する本治験薬の有効性、安全性を評価するためのデータ（本治験薬投与前の、身長伸びを含む臨床的基礎データ）を取得することを目的とした観察試験となります。目標症例数達成のため、治験参加御施設への対象患者さんのご紹介に関しまして、御協力をお願いいたします。

## <対象>

- 遺伝子検査で軟骨無形成症と診断されている患者さん
- 治験開始時の年齢が5～14歳の患者さん
- 介護なしで正常な生活が営める患者さん
- 治験開始前3カ月以内に成長ホルモンやボックスゾゴ®の治療を受けていない患者さん

※その他詳細な適格除外基準がございます。

## <治験登録期間>

- 2022年8月～2024年3月予定

## <目標施設数>

- 全国8施設（施設契約、及び被験者募集手順のIRB審議承認次第、順次施設を掲載予定）

## <外部リンク>

- jRCT : <https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2031220113>

## <連絡先>

- 本試験に関するご不明点は、[info@ribomic.com](mailto:info@ribomic.com)（株式会社リボミック）までご連絡ください。

## <その他>

- 製薬協が発行する「治験に係わる被験者募集のための情報提供要領<改訂版>」を遵守しています。

連絡先：株式会社リボミック [info@ribomic.com](mailto:info@ribomic.com)

プライバシーは厳守されます。治験の実施にあたっては、医師の管理のもと、ご参加いただく方の安全性とプライバシーの保護を第一に行われます。個人情報保護法に基づき、個人情報は厳重に守られます。

※上記内容の無断転載を禁じます。引用・転送する場合は、本文の記載内容を一切変更せず、必ず原典のリンクを記載してください。

RIBOMIC

# 軟骨無形成症の小児患者さんを対象とした 前期第Ⅱ相試験について

観察試験において、治験薬投与前の身長伸びを含む臨床的基礎データを取得した、軟骨無形成症の小児患者さんを対象とした前期第Ⅱ相試験が、株式会社リボミックにより、全国の複数施設で計画されております。本製剤は軟骨無形成症の小児患者さんに初めて投与する治験薬で、本治験は軟骨無形成症の小児患者さん12例に対する本治験薬の有効性、安全性を探索的に評価することを目的とした前期第Ⅱ試験となります。目標症例数達成のため、治験参加御施設への対象患者さんのご紹介に関しまして、御協力をお願いいたします。

## <対象>

- 遺伝子検査で軟骨無形成症と診断されている患者さん
  - 治験開始時の年齢が5～14歳の患者さん
  - 介護なしで正常な生活が営める患者さん
  - 観察試験に参加し、治験薬投与前の身長伸びを含む臨床的基礎データを有する患者さん
- ※その他、詳細な適格除外基準がございます。

## <治験実施期間>

- 2022年12月～2025年5月予定

## <目標施設数>

- 全国8施設（施設契約、及び被験者募集手順のIRB審議承認次第、順次施設を掲載予定）

## <外部リンク>

- jRCT : <https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2031220291>

## <連絡先>

- 本試験に関するご不明点は、[info@ribomic.com](mailto:info@ribomic.com)（株式会社リボミック）までご連絡ください。

## <その他>

- 製薬協が発行する「治験に係わる被験者募集のための情報提供要領<改訂版>」を遵守しています。

連絡先：株式会社リボミック [info@ribomic.com](mailto:info@ribomic.com)

プライバシーは厳守されます。治験の実施にあたっては、医師の管理のもと、ご参加いただく方の安全性とプライバシーの保護を第一に行われます。個人情報保護法に基づき、個人情報は厳重に守られます。

※上記内容の無断転載を禁じます。引用・転送する場合は、本文の記載内容を一切変更せず、必ず原典のリンクを記載してください。

RIBOMIC

# 軟骨無形成症の小児患者さんを対象とした 長期投与試験について

前期第Ⅱ相試験を終了した軟骨無形成症の小児患者を対象とした長期投与試験が、株式会社リボミックにより、全国の複数施設で計画されております。本試験は軟骨無形成症の小児患者さん12例に対して本試験薬を長期投与した場合の有効性、安全性を評価することを目的とした長期投与試験となります。目標症例数達成のため、試験参加御施設への対象患者さんのご紹介に関しまして、御協力をお願いいたします。

## <対象>

- 遺伝子検査で軟骨無形成症と診断されている患者さん
- 試験開始時の年齢が5～14歳の患者さん
- 介護なしで正常な生活が営める患者さん
- 前期第Ⅱ相試験を終了し、安全性及び有効性の評価が完了しており、安全性に問題が無いと判定された患者さん

※その他詳細な適格除外基準がございます。

## <試験実施期間>

- 2023年6月～2029年9月予定

## <目標施設数>

- 全国8施設（施設契約、及び被験者募集手順のIRB審議承認次第、順次施設を掲載予定）

## <外部リンク>

- jRCT：<https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2031220338>

## <連絡先>

- 本試験に関するご不明点は、[info@ribomic.com](mailto:info@ribomic.com)（株式会社リボミック）までご連絡ください。

## <その他>

- 製薬協が発行する「試験に係わる被験者募集のための情報提供要領<改訂版>」を遵守しています。

連絡先：株式会社リボミック [info@ribomic.com](mailto:info@ribomic.com)

プライバシーは厳守されます。試験の実施にあたっては、医師の管理のもと、ご参加いただく方の安全性とプライバシーの保護を第一に行われます。個人情報保護法に基づき、個人情報は厳重に守られます。

※上記内容の無断転載を禁じます。引用・転送する場合は、本文の記載内容を一切変更せず、必ず原典のリンクを記載してください。

RIBOMIC