

治験結果の概要



非分節型白斑患者を対象にウパダシチニブという薬の有効性および安全性を調べる試験

概要

- 尋常性白斑は、よくみられる持続性の病気であり、免疫系が皮膚のメラニン細胞（メラニンと呼ばれ、皮膚を濃い色にして防御する色素を作る皮膚細胞）を攻撃することによって色が抜けます。
- 非分節型白斑（NSV）では、両膝や両手などの身体の両側に色が抜けた部分がみられるようになります。
- 治療法はありますが、すべての患者さんに効果があるわけではなく、時間の経過とともに効果がなくなることもあります。
- この治験では、医師が非分節型白斑を有する患者さんを対象に、ウパダシチニブと呼ばれる薬とプラセボ（治験薬と見た目は同じですが、有効成分は含まれていません）を比較しました。
- この治験は、2021年6月から2023年8月までの期間、4カ国で実施されました。
- この治験には2つの期間があります。第1期では、さまざまな投与量のウパダシチニブまたはプラセボを24週間にわたり患者さんに投与しました。第2期では、さまざまな投与量のウパダシチニブを28週間にわたり患者さんに投与しました。
- 治験の主な目的は、24週目（第1期終了）時点での顔面の尋常性白斑の改善度を治験開始時と比較評価することでした。
- 顔面の尋常性白斑の改善は、顔面の白斑面積及び重症度指標（F-VASI）を基準にしました。
- F-VASIは治験担当医師が行う評価です。患者さんの顔面で色の抜けた部分の大きさを判定し、通常の皮膚色の部分と比較します。
- この治験では、ウパダシチニブの投与を受けた患者さんの方がプラセボの投与を受けた患者さんよりも、24週目時点での顔面の尋常性白斑の改善度（F-VASIによる）が高いことが示されました。
- 第1期では32.4%、第2期では26.5%の患者さんに副作用がみられました。副作用とは、治験担当医師が治験薬の投与に関連している可能性があると考え、好ましくないまたは意図しない症状のことです。
- もっともよくみられた副作用は、第1期ではざ瘡、頭痛、吐き気、第2期ではざ瘡と風邪でした。
- 尋常性白斑やこれ以外の病気の患者さんを対象とするウパダシチニブの治験は現在実施中であり、さらに治験が予定されています。
- あなたがこの治験に参加された患者さんで、ご自身の治療についてお聞きになりたい点がありましたら、担当の治験実施医療機関の医師またはスタッフにお問い合わせください。

1. この治験に関する全般的な情報

1.1. なぜこの治験を実施したのですか。



尋常性白斑は、よくみられる持続性の皮膚の病気であり、免疫系が皮膚のメラニン細胞（メラニンと呼ばれ、皮膚を濃い色にして防御する色素を作る皮膚細胞）を攻撃することによって色が抜けます。

非分節型白斑（NSV）では、両膝や両手などの身体の両側に色が抜けた部分が見られるようになります。治療法はありますが、すべての患者さんに効果がある訳ではなく、時間の経過とともに効果がなくなることもあります。

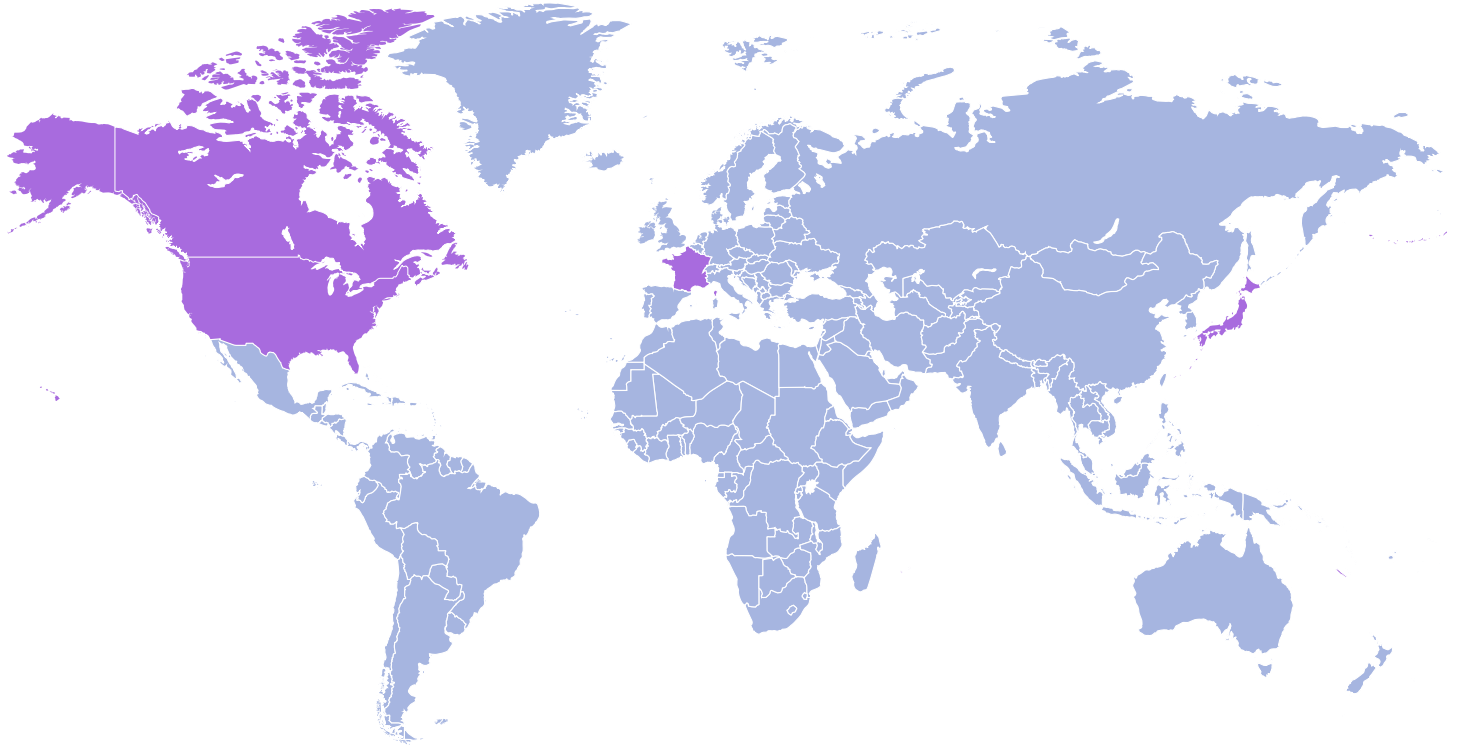
このため、研究者は非分節型白斑の患者さんを対象に、ウパダシチニブのような新たな治療薬を開発中です。ウパダシチニブは身体に作用し、非分節型白斑を引き起こす可能性がある炎症と戦えるようにします。ウパダシチニブは現在、カナダ、欧州連合、日本、米国など多数の国で非分節型白斑以外の炎症性疾患の治療に承認されています。

この治験は、第Ⅱ相、二重盲検、無作為化試験として計画されました。

- **第Ⅱ相試験**では、症状または病気を有する少数の患者さんを対象に新しい治療法を調べます。この治験では、ウパダシチニブを投与した患者さんとプラセボを投与した患者さんの24週目（第1期終了）時点での顔面の尋常性白斑の改善度を医師が比較評価しました。また、治験薬の投与中または投与後に、患者さんに生じた可能性があるすべての副作用を調べました。
- **プラセボ**は治験薬と見た目は同じですが、有効成分が含まれていません。
- **副作用**とは、治験中に患者さんが経験した好ましくない、または望ましくない症状であり、治験担当医師によって治験薬の投与に関連すると判断されたものです。
- この治験は**二重盲検試験**です。これは、患者さんにも治験担当医師にも、誰がウパダシチニブの投与を受けていて、誰がプラセボの投与を受けているかがわからない試験です。これにより、確実に治験結果が影響を受けないようにすることができます。
- コンピュータープログラムを使用し、無作為に（偶然に）患者さんをグループ（群）に割り付けました。この方法は「**無作為割り付け**」と呼ばれ、治験開始時のグループ間での差を減らすことができます。無作為割り付けをすることで、各治療の結果をできるだけ正確に比較することができます。

1.2. この治験はいつどこで実施されましたか。

この治験は、2021年6月から2023年8月にかけて以下の国で実施されました。カナダ(32名)、フランス(47名)、日本(15名)、米国(96名)。

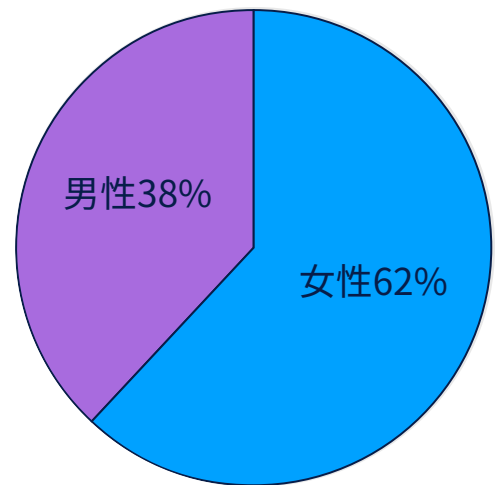


2. どのような患者さんがこの治験に参加しましたか。

185名の成人の患者さんがこの治験に参加しました。185名のうち、173名が第1期を完了し、147名が治験を完了しました。患者さんはいずれも非分節型白斑の確定診断を受けています。患者さんは、治験参加前の少なくとも30日間全身治療（身体の血流を通じて移動する治療薬の投与）を受けておらず、治験参加前の少なくとも12週間尋常性白斑に対するレーザー治療を受けていませんでした。

治験には男性（38%）よりも女性（62%）が多く参加しました。実際の治療の場でも、尋常性白斑は男性よりも女性に多くみられます。患者さんの年齢は18～66歳で、平均年齢は46歳でした。

患者さんの大半は白人（76%）またはアジア系（14%）でした。治験のすべての患者さんのうち11%はラテン系／ヒスパニック系でした。



3. どのような薬を治験で調べたのですか。

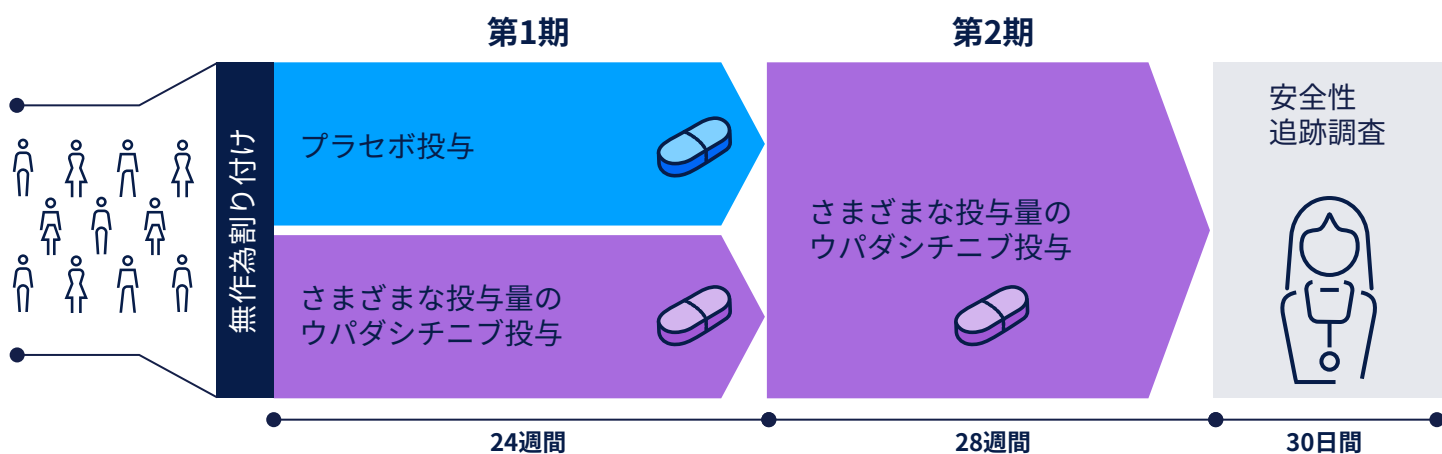
この治験で使用したのはウパダシチニブという薬でした。第1期にはプラセボも投与されました。ウパダシチニブおよびプラセボは錠剤として服用されました。

治験開始時、患者さんはプラセボまたはさまざまな投与量のウパダシチニブのいずれかに無作為に割り付けられ、24週間にわたり投与を受けました（第1期）。

24週間後、患者さんは28週間にわたりさまざまな投与量のウパダシチニブの投与を受けました（第2期）。

治験薬の最終投与後30日間、いずれの患者さんにも安全性についての追跡調査を行いました。

治験がどのように行われたかを下の図に示します。



4. どのような副作用がありましたか。

副作用とは、治験担当医師がこの治験薬の投与に関連している可能性があると考え、望ましくない医学的事象のことです。

死に至る、生命を脅かす、入院、長期入院、または長期間続く障害を引き起こすような副作用のことを、重篤な副作用と定義します。

第1期

- 第1期に重篤な副作用が認められた患者さんは、プラセボでは0名、ウパダシチニブでは1名（患者さんの0.7%）でした。
- 第1期に副作用によって治験薬の投与を中止した患者さんは、プラセボでは0名、ウパダシチニブでは4名（患者さんの2.9%）でした。

治験期間中、重篤な副作用により死亡した患者さんはいませんでした。

以下の表に、患者さんにみられた重篤な副作用と第1期の治験薬投与を中止した患者さんの副作用に関する情報を示します。

| 第1期 | | |
|-------------------------------|---------------|--|
| | プラセボ (46名) | ウパダシチニブ (139名) |
| 重篤な副作用が認められた患者さんの数 | 0（患者さんの0.0%） | 1（患者さんの0.7%） |
| 重篤な副作用 | | |
| 冠動脈硬化症（動脈の狭窄。別名冠動脈疾患） | 0 | 1（0.7%） |
| 関連のある副作用によって治験薬の投与を中止した患者さんの数 | 0（0.0%） | 4（2.9%） |
| 中止の理由 | — | 腹部膨満（腫脹）、腹痛、冠動脈硬化症、感情障害、排便回数増加、全身健康状態悪化、片頭痛、不安定狭心症（心臓が十分な血液や酸素を受け取れない場合に起こる胸痛または不快感） |

第2期

- 第2期には、患者さんの0.6%（1名）に重篤な副作用が認められました。
- 第2期には、患者さんの2.4%（4名）が副作用のために治験薬の投与を中止しました。

以下の表に、患者さんにみられた重篤な副作用と第2期の治験薬投与を中止した患者さんの副作用に関する情報を示します。

| 第2期 | |
|--|---|
| | ウパダシチニブ (166名) |
| 重篤な副作用が認められた患者さんの数 | 1 (患者さんの0.6%) |
| 重篤な副作用 | |
| 虚血性脳卒中（脳への血流の遮断や、血栓または脂肪斑による血流低下が生じた場合にみられる脳卒中の一種） | 1 (0.6%) |
| 関連のある副作用によって治験薬の投与を中止した患者さんの数 | 4 (2.4%) |
| 中止の理由 | 注意障害、虚血性脳卒中（脳への血流の遮断や、血栓または脂肪斑による血流低下が生じた場合にみられる脳卒中の一種）、頭痛、精神状態の変化、脾腫（脾臓の肥大）、疲労 |

第1期には、患者さんの32.4%（60名）に副作用が認められました。この期間によくみられた（患者さんの2.0%以上に認められた）副作用に関する情報を以下の表に示します。もっともよくみられた副作用は、ざ瘡、頭痛、吐き気でした。

| 第1期 | | |
|--|----------------|-------------------|
| | プラセボ (46名) | ウパダシチニブ (139名) |
| 1件以上の副作用が認められた患者さんの数 | 15（患者さんの32.6%） | 45（患者さんの32.4%） |
| よくみられた副作用 | | |
| ざ瘡 | 1（2.2%） | 11（7.9%） |
| 頭痛 | 1（2.2%） | 8（5.8%） |
| 吐き気 | 2（4.3%） | 3（2.2%） |
| COVID-19 | 2（4.3%） | 2（1.4%） |
| 血中アスパラギン酸アミノトランスフェラーゼ増加（肝障害の徴候である可能性があります） | 0（0.0%） | 3（2.1%） |
| 毛包炎（毛髪が生えている場所の皮膚の感染） | 0（0.0%） | 3（2.1%） |
| 上腹部痛 | 2（4.3%） | 0（0.0%） |

第2期には、患者さんの26.5%（44名）に副作用が認められました。この期間によくみられた（患者さんの2.0%以上に認められた）副作用に関する情報を以下の表に示します。もっともよくみられた副作用は、ざ瘡と風邪でした。

| 第2期 | |
|----------------------|-------------------|
| | ウパダシチニブ (166名) |
| 1件以上の副作用が認められた患者さんの数 | 44（患者さんの26.5%） |
| よくみられた副作用 | |
| ざ瘡 | 6（3.6%） |
| 風邪 | 6（3.6%） |
| COVID-19 | 5（3.0%） |
| 頭痛 | 5（3.0%） |

この治験における副作用の数と種類は、ウパダシチニブの他の治験でみられたものとほぼ同じでした。

5. 治験の全般的な結果はどうでしたか。

治験は計画通りに完了しました。治験の主な目的は、24 週目（第 1 期終了）時点での顔面の尋常性白斑の改善度を評価することでした。

顔面の尋常性白斑の改善は、顔面の白斑面積及び重症度指標（F-VASI）を基準にしました。F-VASI は治験担当医師が行う評価です。患者さんの顔面の色の抜けた部分の大きさを判定し、通常の皮膚色の部分と比較します。

この治験では、ウパダシチニブの投与を受けた患者さんの方がプラセボの投与を受けた患者さんよりも、24 週目時点での顔面の尋常性白斑の改善度（F-VASI による）が高いことが示されました。

6. この治験が患者さんと研究者にどのように役立ちましたか。

この治験により、非分節型白斑の患者さんに対するウパダシチニブの作用について理解を深めることができました。この治験結果は、ウパダシチニブが患者さんの一助となるかどうかを確認する他の研究に使用される可能性があります。

なお、この概要はこの治験の結果のみを記載しており、他の治験の結果とは異なる可能性があります。1 件の治験の結果だけに基づいて、ご自身の治療を変更すべきではありません。まず、担当の医療従事者や治験担当医師にご相談ください。

7. 今後治験の予定はありますか。

現在、非分節型白斑をはじめ、さまざまな症状を有する患者さんを対象とした複数のウパダシチニブの治験が進行中です。

8. この治験の治験依頼者は誰ですか。

この治験は AbbVie 社の依頼により実施されました。本概要は、患者支援団体による読みやすさのレビューを受けています。

9. この治験に関するより詳しい情報はどこで確認できますか。

| | |
|--------------------|---|
| 治験課題名 | 非分節型白斑患者を対象としてウパダシチニブの安全性及び有効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、用量設定試験 (A Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Dose-Ranging Study to Evaluate the Safety and Efficacy of Upadacitinib in Subjects With Non-Segmental Vitiligo) |
| 治験実施計画書番号 | M19-051 |
| Clinicaltrials.gov | NCT04927975 https://clinicaltrials.gov/study/NCT04927975?term=NCT04927975&rank=1 |
| EudraCT | 2021-000081-15 https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2021-000081-15 |
| 治験依頼者 | AbbVie, Inc. 電話番号：+1 800-633-9110 https://www.abbvie.com/contactus.html |

ありがとうございました

AbbVie 社は治験に参加されたすべての患者さんに対し、貴重なお時間を頂戴し、またご協力をいただきましたことに感謝申し上げます。

臨床治験への患者の皆様のご参加は、医学を大きく発展させます。皆様ありがとうございました。



2024年7月23日 この文書は作成時点での既知の事実を反映しています。