

# 福山型先天性筋ジストロフィーの患者さんを対象とした プレドニゾロンの治験のご紹介

## 『治験』とは…

患者さんにご協力いただき、その薬の有効性と安全性を詳しく調べるための臨床試験のことです。  
この治験ではステロイドの「プレドニゾン」を治験薬として使用します。

## 福山型先天性筋ジストロフィーの治療開発の現状

- ・アンチセンス核酸などの治療開発が進行しています。
- ・現在の治療は、心不全や呼吸不全に対する対症療法のみで、根本的治療はありません。

## ステロイド内服療法について

ステロイドがなぜ筋ジストロフィーに効果があるのか、その作用機序についてはまだ解明されていませんが、ステロイドは筋細胞の壊れやすさを改善させるのではないかとされています。

- ▶ デュシェンヌ型筋ジストロフィーでは  
すでにステロイド内服療法が認められています。ステロイド長期内服により運動機能の改善および維持、呼吸機能の維持、脊柱側弯の進行抑制などに効果があることがわかっています。
- ▶ 福山型先天性筋ジストロフィーでは
  - ・退行（運動機能が低下）し始めた患者さんにステロイドを投与し、運動機能の改善を認めたという症例報告がありました。
  - ・東京女子医科大学で臨床研究※1を実施したところ、退行が始まった患者さんに対して運動機能維持または改善を示唆する結果が得られています。

※1「福山型先天性筋ジストロフィー患者に対するステロイド治療の有用性の検討臨床研究（UMIN 試験ID UMIN000020715）」

## 治験薬「プレドニゾン」について

- ・安全性は、デュシェンヌ型筋ジストロフィーでの経験や他疾患での使用実績により明らかにされています。
- ・福山型先天性筋ジストロフィーの患者さんに対する有効性は治験では明らかにされていません。

以上を踏まえ、福山型先天性筋ジストロフィーの患者さんを対象とした治験を実施することになりました。

## ☆治験にご参加いただける方☆

- ・年齢：（ホモ型の方）5歳以上 13歳以下 （ヘテロ型の方）3歳以上 13歳以下
- ・2時点（治験参加時とその3カ月以上前）において、運動機能の明らかな退行が始まっていることが治験医師により確認された方  
（ご参加前の診察等で確認しますので、6施設での受診歴は必須ではありません）
- ・プレドニゾン製剤の成分に対し過敏症の既往歴がない方
- ・過去に福山型筋ジストロフィーに対するステロイドによる治療歴がない方  
（急性期治療の短期間の使用は治療歴に含まれません）



※他にも治験参加基準があり、ご希望いただいてもご参加いただけない場合もあります。

この治験にご関心のあるかたは、以下まで電話にてお問い合わせください。

<治験責任医師：国立病院機構東埼玉病院 神経内科 村上てるみ>

## お問い合わせ

国立病院機構東埼玉病院

神経内科 村上てるみ または 治験管理室

TEL：048-768-1161（代表）

受付時間：平日 9:00～14:30

「プレドニゾロンの治験の件で  
お問合せ」とおっしゃってください。

