

特発性炎症性筋疾患を対象とした alkivia 試験への患者さんのご紹介に際して

治験参加希望者様の

主治医師 御侍史

3Hメディソリューション株式会社

難病・希少疾患情報サイト RareS. (レアズ)

(治験依頼者) argenx BV

(国内治験管理人) ICON クリニカルリサーチ合同会社

拝啓 時下ますますご清祥のこととお喜び申し上げます。

3H メディソリューション株式会社は、当社が運営する Web サイト「難病・希少疾患情報サイト RareS. (レアズ) (<https://raresnet.com/>)」を通じて、製薬会社等より依頼を受けた治験情報の提供をしております。この度、先生が診療されている患者さんより「レアズ」を通じて治験へのお問い合わせと、治験参加をご希望いただいたため、患者さんの承諾を得たうえで本資料を送付いたしました。

患者様が参加を希望されている治験は、argenx BV 社及び、国内治験管理人の ICON クリニカルリサーチ合同会社が実施する「特発性炎症性筋疾患を対象とした alkivia 試験」でございます。

本試験の詳細および主な選択・除外基準を別紙 1 にお示ししておりますので、ご参照ください。内容をご確認いただき、治験参加の基準にご懸念点などが無い等、ご紹介いただけるようございましたら一度患者様または先生よりオンコロにその旨ご連絡ください。患者様に実施医療機関名、ご予約方法などをお伝えいたします。

なお、治験実施医療機関での治験参加基準確認のために患者さんの治療状況などを確認させていただく必要がございますので、お手数ではございますがご紹介いただく際には貴院で使用している診療情報提供書をご準備いただけますと幸いです。別紙 2 として診療情報提供書のひな形をご用意いたしましたので、そちらもご活用いただければと存じます。

ご多忙の折、大変恐縮ではございますが、何卒ご検討の程、お願い申し上げます。

ご不明な点がございましたら以下までご連絡いただけますようお願いいたします。

まずは、略儀ながら書面をもちましてお願い申し上げます。

敬具

【問い合わせ先】

難病・希少疾患情報サイト RareS. (レアズ)

お問い合わせ： 筋炎の治験担当者

電話番号：0120-330-800（平日 10:00 ～ 18:00）

メールアドレス：info@raresnet.com

別紙1

本治験の概要について以下のようにお示しいたします。

治験課題名: 18歳以上の活動性を有する特発性炎症性筋疾患患者を対象に efgartigimod PH20 SC の有効性、安全性、忍容性、薬力学、薬物動態および免疫原性を評価する operationally シームレスデザインの第 II/III 相、無作為化、二重盲検、プラセボ対照、2 群並行群間、多施設共同試験

本試験の概要: 活動性を有する成人特発性炎症性筋疾患 (IIM) 患者を対象に efgartigimod (エフガルチギモド) PH20 SC 1000 mg 群又はプラセボ群に 1:1 の割合で無作為に割り付け、efgartigimod PH20 SC の有効性および安全性を検討する。いずれの群もスクリーニング期間中および投与期間中、IIM に対するバックグラウンド治療を継続しながら、週 1 回、皮下注射で 52 週間 (第 III 相試験) 投与する。規定の来院は 4 週間に 1 回 (規定来院間の治験薬の投与は、治験実施医療機関で実施もしくは、条件を満たした場合は在宅での自己投与も可能)。投与終了後は 8 週間の安全性追跡調査に移行するか、適格である方は非盲検試験 (ARGX-113-2011 試験) へ移行し、efgartigimod PH20 SC 1000 mg のみの投与を受けることができる。

治験デザイン: 無作為化、二重盲検、プラセボ対照試験

参加基準

■主な選択基準:

- ・18 歳以上である方
- ・2017 年 EULAR/ACR 分類基準による IIM の臨床診断が definite または probable である方
- ・以下いずれかの病歴を有する方
 - 2017 年 EULAR/ACR 分類基準を満たす DM または若年性 DM の臨床診断。
 - 以下のいずれかを有する PM (ASyS を含む) の臨床診断。
 - ✓ 過去の筋生検による IIM 診断
 - ✓ MSA 検査で抗アミノアシル t-RNA 合成酵素抗体 (抗 Jo-1、抗 PL-7、抗 PL-12、抗 EJ、抗 OJ 抗体) がのいずれか 1 つ以上が陽性
 - 抗シグナル認識粒子 (SRP) 抗体陽性、または抗 3-ヒドロキシ-3-メチルグルタリル補酵素 A 還元酵素 (HMGCR) 抗体陽性のいずれかを有する IMNM の臨床診断、または IMNM の病理学的特徴を示す筋生検所見。
- ・以下いずれかのバックグラウンド治療を受けている方
 - 経口コルチコステロイド (OCS)
 - 1 剤の抗マalaria薬 (ヒドロキシクロロキン、キナクリン、又はクロロキン)
 - 1 剤の免疫抑制剤 (メトトレキサート、アザチオプリン、ミコフェノール酸モフェチル、ミコフェノール酸、タクロリムス、シクロスポリン、レフルノミド、またはミゾリピン)
 - ✓ 参加者は、OCS および最大 1 剤の抗マalaria薬、又は OCS および最大 1 剤の免疫抑制剤 1 剤の併用投与を受けることもできます。
 - ✓ 免疫抑制剤と抗マalaria薬はスクリーニングの 12 週間以上前から、OCS はスクリーニングの 8 週間以上前から投与 (もしくは 4 週間以上前に中止) されている必要があります。
- ・筋力低下が認められる方 (MMT8 スコアが 142/150 未満)
- ・活動性の疾患が認められる方 (CK・LDH・AST・アルドラーゼ・ALT (いずれかが基準値の 4 倍以上)、筋電図、MRI、DM 皮疹・CDASI スコアなど)

■主な除外基準:

- ・悪性腫瘍の既往歴がある方。なお、適切な治療により治癒したと考えられ、治験薬の初回投与前 3 年以上再発が見られない場合は除く。
- ・筋力低下または永続的な筋力低下の主な原因は IIM 以外にある方。(グルココルチコイド誘発性のミオパチー)
- ・重度の筋損傷のある方。(筋炎損傷指数の 10cm VAS において 5 以上と程度)
- ・スクリーニング時の IgG が 4g/L 未満の方

※その他にも条件がございます。

※治験参加前にスクリーニング検査を行い、すべての条件について、患者様に適格性があるかどうかを改めて評価いたします。

治験広告 Web ページ(レアズ)掲載情報:

【治験広告】「筋炎」でお悩みの方に知ってほしい 新規薬剤の治験

https://raresnet.com/special/myositis_clinicaltrial_202503/



JRCT 掲載情報:

<https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2031240039>



別紙 2

診療情報提供書

特発性炎症性筋疾患（IIM）に関する経過（治療歴、特発性炎症性筋疾患（IIM）と診断された病理診断された結果（生検の実施個所など）

--

現在処方中の薬剤（特発性炎症性筋疾患（IIM）に対する治療および他全て含めて）

薬剤名	目的

既往歴・合併症について（特に悪性腫瘍の既往、コントロール不能な間質性肺疾患、活動性ウイルス感染など除外基準に記載のあるものについて）

※特に重要と考えるものをご記載ください。

既往歴：

合併症：

備考

日付： 年 月 日

病院名： 科名：

氏名：

電話番号：