

概要

試験の目的とデザイン

本試験は、CL-101試験（LT-001試験）とCL-303試験（STRIVE）とCL-304試験（SPRINT）とCL-102試験（STRONG）の5つの試験からなる試験群である。CL-101試験は、4つの試験群（SMN2試験群、2I試験群、SMA試験群、CL-101試験群）に分けられ、CL-101試験群はLT-001試験群と対照群である。SMN2試験群は2I試験群と対照群である。CL-304試験群は2021年に開始される試験群である。

試験の進捗状況

試験の結果

Image

	CL-101試験 (START)	LT-001試験	CL-303試験 (STRIVE)	CL-304試験 (SPRINT)	CL-102試験 (STRONG)
試験区分/ ステータス	第I相（海外）/完了	長期フォローアップ （海外）/承認時	第III相（海外）/承認時	第III相（日本を含む国際 共同）/完了	第I相（海外）/承認時
試験デザイン	単一施設 非盲検 用量漸増試験	観察試験	多施設共同 非盲検 単群試験	多施設共同 非盲検 単群試験	多施設共同 非盲検候補申請用量 3用量の比較試験
対象患者の概略	I型SMA患者	CL-101試験に登録され、 24ヵ月までの観察が完了 した患者	I型又は遺伝学的検査に よりI型と考えられるSMA 患者 ^{※1}	遺伝学的検査によりI又は II型と考えられるSMA 患者 ^{※2}	II又はIII型SMA患者
登録例数	コホート1：3例 コホート2：12例	13例	22例	2コピーコホート：14例 ^{※3} 3コピーコホート：15例 ^{※3}	コホート1：3例 コホート2：25例 コホート3：2例
目的	安全性、有効性	安全性、有効性	有効性、安全性	有効性、安全性	安全性、有効性
主要な有効性の 評価項目	永続的な呼吸補助を必要 としない生存の時間 ^{※4}	運動マイルストーン	18ヵ月齢時までの「30秒以上支えなしで座る」の運動マイルストーンの達成 14ヵ月齢時における永続的な呼吸補助^{※4}を必要とせずに生存した割合	コホート1 18ヵ月齢時までの「30秒以上支えなしで座る」の運動マイルストーンの達成 コホート2 24ヵ月齢時までの「3秒以上支えなしで立つ」の運動マイルストーンの達成	6ヵ月齢以上 24ヵ月齢未満の患者 「3秒以上支えなしで立つ」の運動マイルストーンの達成 24ヵ月齢以上 60ヵ月齢未満の患者 - 拡大Hammersmith運動機能評価スケールのベースラインからの変化
用法・用量の 概略	静脈内、単回投与 コホート1 ●本品 3.7×10^{13} vg/kg ^{※5} コホート2 ●本品 1.1×10^{14} vg/kg ^{※5}	本品の投与なし	静脈内、単回投与 本品 1.1×10^{14} vg/kg	静脈内、単回投与 本品 1.1×10^{14} vg/kg	髄腔内、単回投与 コホート1 ●本品 6.0×10^{13} vg コホート2 ●本品 1.2×10^{14} vg コホート3 ●本品 2.4×10^{14} vg
資料区分	◎	○	○	○	○

◎：試験の主要な評価項目

Source URL: <https://loadtest.pro.novartis.com/products/zolgensma/crinaltrial>