

## 希少がんの治験情報

2025/10/8現在

治験依頼者	対象疾患名	公開年月日	臨床試験ID	治験名	治験のフェーズ	治験成分記号（治験薬一般名）	研究・治験の目的	実施状況
プリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	骨髄異形成症候群又は骨髄線維症に伴う貧血	2022年10月28日	jRCT2031220422	他のluspatercept (ACE-536) 臨床試験への参加歴を有する被験者を対象とした長期安全性を評価する第3b相非盲検単群継続試験	3	luspatercept	他のluspatercept臨床試験への参加歴を有する被験者を対象に、luspaterceptの長期安全性（急性骨髄性白血病 [AML]への移行及び／又は他の悪性腫瘍／前悪性病変を含む）を評価する。	募集中
プリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	LK, ROS1またはNTRK1-3の遺伝子再構成を有する進行固形癌患者	2021年5月18日	jRCT2011210009	ALK, ROS1またはNTRK1-3の遺伝子再構成を有する進行固形癌患者におけるTPX-005の安全性、忍容性、薬物動態および抗腫瘍活性を評価する第1/2相、非盲検、多施設共同、First-in-Human試験（TRIDENT-1）	1-2	Repotrectinib	日本人Lead-Inコホート ・TRIDENT-1試験の第1相部分で決定したRP2Dで日本人被験者に投与したときのrepotrectinibの安全性、忍容性およびPKプロファイルを評価する。 第2相試験 ・ROS1, NTRK1, NTRK2 またはNTRK3 の遺伝子再構成を有する進行固形癌患者の各被験者集団拡大コホートにおいて、盲検下独立中央判定（BICR）の評価によるrepotrectinibの確定奏効率（ORR）を決定する。	募集中
住友ファーマ株式会社	骨髄線維症	2021年12月17日	jRCT2031210490	骨髄線維症患者を対象としたTP-3654の試験	1-2	TP-3654	中間又は高リスクの原発性又は二次性骨髄線維症患者を対象にTP-3654を経口投与した時の安全性、薬物動態、及び薬力学を評価する	募集中
小野薬品工業株式会社	ラブドイト腫瘍	2024年10月7日	jRCT2051240150	ONO-4538-126：ラブドイト腫瘍を対象としたONO-4538 の有効性及び安全性を検討する多施設共同非盲検非対照第Ⅱ相試験	2	ニボルマブ	ラブドイト腫瘍を対象としたONO-4538 の有効性及び安全性を検討する	募集中
大塚製薬株式会社	骨髄異形成症候群	2020年11月10日	jRCT2021200025	骨髄異形成症候群患者を対象としたASTX030の第I相試験	1	ASTX030	・アザンチジン（AZA）注75 mg/m <sup>2</sup> と同程度のAZAの総AUCが得られるAZA経口投与剤及びcedazuridine（CED）錠の用量を検討する。	募集中
中外製薬株式会社	進行・転移性固形癌	2025年3月3日	jRCT2031240713	局所進行性又は転移性固形癌患者を対象とした他の抗がん剤との併用投与によるMINT91の用量漸増及び拡大コホートの非盲検多施設共同第I相臨床試験	1	MINT91、ゲムシタビン	本治験は、局所進行、再発、又は転移性の固形癌患者を対象として、他の抗癌剤との併用時のMINT91の安全性、忍容性、PK、PD、及び抗腫瘍活性を評価することを目的とした、初回ヒト投与、第1相、非盲検、国際共同、多施設共同臨床試験である。	募集中
日本イーライリリー株式会社	非小細胞肺癌、大腸新生物、子宮内膜新生物、卵巣新生物、膵臓新生物	2021年8月20日	jRCT2031210265	KRAS G12C 変異を有する進行性の固形がん患者を対象としたLY3537982 の第 Ia/Ib 相試験	1	LY3537982	本治験の目的は、特定の遺伝子変異（KRAS G12C）を有するがん患者において、治験薬LY3537982が安全かつ有効であるかどうかを調べることです。患者さんは、抗がん剤治療を受けていない特定のグループを除き、すでに標準治療を受けているか、標準治療に不耐性となった方が対象となります。この治験は最長で約4年間行われます。	募集中
日本イーライリリー株式会社	膀胱がん、転移性腫瘍、尿管癌	2023年5月26日	jRCT2031230098	FGFR3異常を有するがん患者におけるLOXO-435の臨床研究	1	LOXO-435、ペムプロリズマブ（遺伝子組換え）	FGFR3異常を有するがん患者におけるLOXO-435の臨床研究	募集中
日本ベーリングインターナショナル株式会社	DLL3を発現する小細胞肺癌及びその他の神経内分泌腫瘍	2023年3月20日	jRCT2031220716	DLL3を発現する小細胞肺癌及びその他の神経内分泌腫瘍の患者を対象にBI 764532の様々な用量とezabenlimabの併用投与を検討する試験	1	BI 764532、BI 754091	用量-毒性関係を評価し、ezabenlimab併用下でのBI 764532の最大耐量（MTD）を決定する。全般的な安全性、有効性、薬物動態及び薬力学評価に基づき、拡大期推奨用量（RDE）／第II相推奨用量（RP2D）も決定する。	募集中
日本ベーリングインターナショナル株式会社	肺外神経内分泌癌（ただしメルケル細胞癌、甲状腺髓様癌又はグレード3の神経内分泌腫瘍を除く）肺の大細胞神経内分泌癌原発部位不明の神経内分泌癌	2023年12月13日	jRCT2031230511	DAREON™-7：神経内分泌癌（NEC）患者の1次治療として、BI 764532点滴静注を標準治療（プラチナ製剤及びエトポシド）と併用したときの安全性及び忍容性を検討する第I相、非盲検、用量漸増及び拡大試験	1	BI 764532、Carboplatin、Etoposide、Cisplatin	パートA：用量漸増の主要目的は、BI 764532の最大耐量（MTD）及び／又は目標用量の拡大期推奨用量（RDE）／第II相推奨用量（RP2D）を決定することである。 パートBの主要目的は、BI 764532のRDE/RP2Dと様々な標準治療レジメンを併用したときの安全性及び忍容性を確認することである。	募集中
日本ベーリングインターナショナル株式会社	小細胞肺癌患者肺外神経内分泌癌（ただしメルケル細胞癌、甲状腺髓様癌、神経内分泌前立腺癌を除く）肺の大細胞神経内分泌癌	2023年9月29日	jRCT2041230084	DAREON-5：再発／難治性進展型小細胞肺癌患者及びその他の再発／難治性神経内分泌癌患者を対象にDLL3を標的とするT細胞誘導抗体であるBI 764532を静脈内投与する非盲検、多施設共同、第II相、用量選択試験	2	BI 764532	主目的は、プラチナ製剤を用いたレジメンを少なくとも1種類を含む2種類以上の前治療後に進行又は再発が認められたSCLC患者、及びプラチナ製剤を用いたレジメンを少なくとも1種類実施後に進行又は再発が認められた、2022年の神経内分泌腫瘍のWHO分類の定義に基づき、組織学的検査又は細胞学的検査で確認された進行又は転移性epNEC患者（MCC、MTC及びNEPCを除く）、又は肺のLCNEC患者において、2種類の用量のBI 764532による単剤療法の安全性及び有効性を評価することである。	募集中
日本ベーリングインターナショナル株式会社	小細胞肺癌及び神経内分泌癌	2020年8月11日	jRCT2080225308	DLL3を発現する小細胞肺癌及び神経内分泌腫瘍の患者を対象にBI 764532を反復点滴静注するヒト初回投与第I相国際多施設共同非ランダム化非盲検用量漸増試験	1	BI 764532	本非盲検用量漸増試験は、ヒトを対象としたBI 764532の最初の試験である。本治験で得られる安全性、薬物動態、及び薬力学的プロファイル並びに予備的抗腫瘍効果の評価は、さらなるBI 764532開発の基礎になると考えられる。	募集前
大原薬品工業株式会社	再発又は難治性若しくは標準治療に不耐容のMDS又はCMML患者	2022年8月4日	jRCT2071220035	再発又は難治性の高リスク骨髄異形成症候群及び高リスク慢性骨髄単球性白血病に対するOP-2100の第I相臨床試験	1	OP-2100	主目的 再発又は難治性の高リスクMDS及び高リスクCMMLに対してOP-2100を経口投与した時のMTDを検討する。 副次目的 再発又は難治性の高リスクMDS及び高リスクCMMLに対してOP-2100を経口投与した時の安全性、薬物動態及び有効性を評価する。	募集終了
エーザイ株式会社	転移性又は切除不能の悪性黒色腫、転移性又は切除不能の肝細胞癌、転移性又は切除不能の大腸癌	2021年11月1日	jRCT2031210405	前治療歴のある特定の固形がん患者を対象としたE7386とペムプロリズマブの併用に関する試験	1-2	E7386	治療	募集終了
住友ファーマ株式会社	再発悪性神経膠腫	2021年9月7日	jRCT2031210299	再発悪性神経膠腫患者を対象としたDSP-0390の第1相試験	1	DSP-0390	再発悪性神経膠腫患者を対象にDSP-0390を経口投与したときの安全性、薬物動態、薬力学及び予備的な抗腫瘍活性を評価する	募集終了
第一三共株式会社	局所進行性又は転移性の頭頸部癌、胃癌、食道癌、非小細胞肺癌、又は悪性黒色腫	2020年5月20日	jRCT2080225196	再発または難治性的局所進行性・転移性固形がん患者を対象としたDS-1055aの第I相First in human試験	1	DS-1055a	多施設共同、非盲検、用量漸増、第I相First in human試験	募集終了
中外製薬株式会社	小細胞肺癌及びその他の神経内分泌癌	2022年12月14日	jRCT2031220511	RO7616789の進行小細胞肺癌及びその他の神経内分泌癌患者を対象とした第I相臨床試験	1	RO7616789、トリソリマブ	非盲検多施設共同第I相臨床試験	募集終了
日本イーライリリー株式会社	非小細胞肺癌	2021年10月8日	jRCT2061210041	LIBRETTO-432 : IB-IIIA期RET融合遺伝子陽性NSCLC患者を対象とした根治目的の局所療法後のアシジット療法におけるセルベルカチニブの無作為化二重盲検プラセボ対照第III相試験	3	セルベルカチニブ	手術または放射線療法後の非小細胞肺癌患者を対象としたセルベルカチニブの臨床試験（LIBRETTO-432）	募集終了
アッヴィ合同会社	成熟B細胞性リンパ腫	2022年10月4日	jRCT2041220067	成熟B細胞性腫瘍の小児患者を対象としたepcoritamabの第Ib相試験	1	epcoritamab	本試験の目的は、再発又は難治性のバーキット様リンパ腫/白血病、DLBCL、又はその他のCD20陽性アグレッシブ成熟B細胞性リンパ腫を有し、再発解導入療法で寛解に達しなかった、又は細胞療法による更なる地固め療法を受けることができない小児患者（及び若年成人）を対象に、epcoritamab単剤療法の安全性及びPKを評価することである。	募集終了