

ご質問・ご意見に対する回答 (2025年9月29日号)

弊社 web サイト等よりお寄せいただきました主なご質問・ご意見に対し、以下のとおり回答を公開させていただきます。

なお、以下の回答は、お寄せいただきましたご質問・ご意見の中から回答を公開すべきと弊社が判断をしたものであり、お寄せいただきましたすべてのご質問・ご意見に対するものではありませんので、あらかじめご了承ください。

Q1	ALS を対象として実施している臨床試験 (COMBAT-ALS) は、フェーズ 2b/3 と位置付けられています。フェーズ 2b/3 治験について、単独で行われるフェーズ 2b 治験、またはフェーズ 3 治験とはどのように違うかを教えてください。
A1	<p>フェーズ 2 治験の概要</p> <p>フェーズ 2 治験は、臨床開発において薬剤の有効性と安全性を、対象となる患者に対して初めて評価する段階です。フェーズ 1 治験では、通常は健康成人を対象に安全性を確認しますが、フェーズ 2 では実際の患者を対象にします。</p> <p>フェーズ 2 は前期 (2a) と後期 (2b) に分かれます：</p> <ul style="list-style-type: none">● フェーズ 2a: 初期探索の段階。少数の患者さんを対象に、有効性の兆候 (Proof of Concept) を評価・確認し、安全性プロファイルも把握します。● フェーズ 2b: より多くの患者さんを対象に、用量反応関係やプラセボ群との比較による有効性の統計的有意差を評価します。フェーズ 3 に向けた主要評価項目の妥当性や症例数設計の基礎データも収集します。 <p>フェーズ 3 治験の概要</p> <p>フェーズ 3 治験は、新薬の承認申請に必要な最終段階の臨床試験であり、治験薬の有効性と安全性を検証するステージです。新薬承認の成否を左右する、極めて重要な試験です。</p> <p>主な目的は以下の通りです：</p> <ul style="list-style-type: none">● 有効性の検証 (Confirmatory efficacy) フェーズ 2 で得られた有効性の兆候を、統計的に有意な形で検証します。プラセボまたは既存治療との比較が基本です。● 安全性の評価 (Safety profile) 長期投与時の副作用や稀な有害事象を検出し、承認審査時に必要なリスク評価の根拠となるデータを収集します。● 規制当局への申請データの取得 FDA、EMA、PMDA などの規制当局が求める主要評価項目 (Primary Endpoint) と副次評価項目 (Secondary Endpoint) を含めて評価します。 <p>統合型フェーズ 2b/3 治験 (Seamless Phase 2b/3 Study) の概要</p> <p>統合型フェーズ 2b/3 治験は、探索的なフェーズ 2b 試験と、検証的なフェーズ 3 試験を一つのプロトコルに統合した「シームレス試験設計」です。</p>

通常、以下のような構成になります：

フェーズ 2b 部分で中間解析（Interim Analysis）を実施し、事前に設定した有効性や安全性の基準を満たせば、そのままフェーズ 3 に移行。

適応的デザイン（Adaptive Design）により、フェーズ 2b の結果をもとに、最適用量の選定や症例数の再計算（Sample Size Re-estimation）などが可能。

統合型フェーズ 2b/3 治験の利点（フェーズ 2b とフェーズ 3 を別々に行う場合との比較）

項目	統合型フェーズ 2b/3 治験	フェーズ 2b とフェーズ 3 を別で実施
開発期間	探索と検証を連続して実施することで、承認申請までの期間を 1～2 年短縮可能	各試験の準備・実施に時間がかかり、開発期間が長くなる
コスト効率	治験サイト契約や規制対応の重複を回避し、開発コストを軽減	各試験で個別に準備が必要となり、コストが増加
柔軟性	中間解析結果に基づき、用量選定や症例数調整などの適応的変更が可能	固定設計が多く、柔軟な対応が難しい
投資価値	中間解析で有効性の兆候が確認できれば、早期の提携・資金調達 material となる	フェーズ 3 開始までに時間がかかり、価値転換が遅れる可能性あり

留意点（リスク管理）

統合型治験はオペレーションの複雑性が高く、リアルタイムでのデータ管理体制が必要です。

規制当局（FDA、EMA など）との事前協議が不可欠であり、データ解析における統計設計の厳密性（Type I error の管理）も求められます。中間解析で有効性が確認されなければ、治験が即座に開発中止となる可能性もあるため、リスク管理が重要です。

以上

MediciNova, Inc.（メディシノバ・インク）

東京事務所 IR 担当

E-mail infojapan@medicinova.com

URL <https://medicinova.jp/>