

分類	試験実施者	試験の名称	対象患者の概略	国内被験者募集状況	リンク先
医薬品	エイターヘルスケア株式会社 (海外治験依頼者: AveXis, Inc.)	SMN2 コピー数が1 又は2 を有する脊髄性筋萎縮症1 型患者を対象とした、遺伝子置換療法によるAVXS-101 単回静脈内投与の第3 相、非盲検、単群試験	投与時に生後6か月未満でSMAと診断されSMN2コピー数が1又は2であること	募集中	<a href="https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=28656">https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=28656</a>
医薬品	エイターヘルスケア株式会社 (海外治験依頼者: AveXis, Inc.)	遺伝子的に脊髄性筋萎縮症(SMA)と診断され、SMN2のコピー数を2つ以上有する乳児で、かつ症状発症前の患者を対象としたAVXS-101の単回投与による国際共同試験	投与時に生後6週未満でSMAと診断されSMN2コピー数が2又は2であること	募集終了	<a href="https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=28655">https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=28655</a>
医薬品	興和株式会社	小児期発症脊髄性筋萎縮症患者を対象としたバルプロ酸ナトリウムの長期投与試験	15歳未満でSMA1,2,3型のいずれかであること	募集終了	<a href="https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=26943">https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=26943</a>
医薬品	東京女子医科大学附属 遺伝子医療センター	小児期発症脊髄性筋萎縮症に対するバルプロ酸ナトリウム多施設共同医師主導治験: 継続投与試験(SMART03)	SMART02試験に参加され、終了した人	募集中 (SMART02完了の患者に限る)	<a href="https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmacctr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00259">https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmacctr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00259</a>
医薬品	東京女子医科大学附属 遺伝子医療センター	小児期発症脊髄性筋萎縮症に対するバルプロ酸ナトリウム多施設共同医師主導治験: 検証的試験 (SMART02)	SMA1,2型のいずれかでHFMSSEが1点以上の方	募集終了	<a href="https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/JMACCTR/APP/JMACCTRE02_04/JMACCTRE02_04.aspx?kbn=3&amp;seqno=5544">https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/JMACCTR/APP/JMACCTRE02_04/JMACCTRE02_04.aspx?kbn=3&amp;seqno=5544</a>
医薬品	東京女子医科大学附属 遺伝子医療センター	小児期発症脊髄性筋萎縮症に対するバルプロ酸ナトリウム多施設共同医師主導治験(SMART)	8歳未満のSMA1,2,3型のいずれかである方	募集終了	<a href="https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/JMACCTR/APP/JMACCTRE02_04/JMACCTRE02_04.aspx?kbn=3&amp;seqno=4602">https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/JMACCTR/APP/JMACCTRE02_04/JMACCTRE02_04.aspx?kbn=3&amp;seqno=4602</a>
医療機器	独立行政法人国立病院機構新潟病院 臨床研究部、神経内科 中島孝	希少性神経・筋難病疾患の進行抑制治療効果を得るための新たな医療機器、生体電位等で随意コントロールされた下肢装着型補助ロボット (HAL-HN01) に関する医師主導治験-短期効果としての歩行改善効果に対する無作為化比較対照クロスオーバー試験	希少性神経・筋難病疾患で18歳以下の方	募集終了	<a href="https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmacctr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00156">https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmacctr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00156</a>
医療機器	CYBERDYNE株式会社	HAL医療用下肢タイプ 長期使用アウトカム調査	神経筋疾患で歩行機能が低下された方	募集中	<a href="https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmacctr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00301">https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmacctr/default.aspx?JMACCTID=JMA-IIA00301</a>
その他	中外製薬株式会社	脊髄性筋萎縮症I型患者を対象としたRO7034067の安全性、忍容性、薬物動態、薬力学及び有効性を検討する2パートシームレス非盲検多施設共同試験	1型SMAで1か月≤生後≤7か月の方	募集終了	<a href="https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=29546">https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=29546</a>
その他	中外製薬株式会社	脊髄性筋萎縮症II型及びIII型患者を対象としたRO7034067の安全性、忍容性、薬物動態、薬力学及び有効性を検討する2パートシームレス多施設共同ランダム化プラセボ対照二重盲検試験	SMAと診断され2~25歳の方	募集終了	<a href="https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=28783">https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=28783</a>
その他	中外製薬株式会社, Hoffmann-La Roche Ltd	診療記録データを使用した脊髄性筋萎縮症I型の自然歴の後ろ向きコホート研究	SMA1型でSMN2コピー数が2と確定されているか不明な方	募集中	<a href="https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=27960">https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?clinicalTrialId=27960</a>