

# スターガルト病患者さんへ

東京医療センター 眼科

〒152-8902 東京都目黒区東が丘 2-5-1



## スターガルト病とは

スターガルト病は黄斑部における網膜萎縮（視細胞が消失すること）を特徴とする黄斑ジストロフィーのひとつです。スターガルト病の主な原因遺伝子はABCA4遺伝子であり、常染色体潜性（劣性）の遺伝形式を示します。

若年発症例では10歳前後で両眼の視力低下を自覚します。小児期の進行は比較的速く、数年のうちに黄斑部萎縮が進行し、視力が低下していくことが多いです。また、網膜の障害が黄斑部付近に留まるタイプから、周辺部に拡大して広範囲の視野異常を来すタイプまで、多彩な疾患経過を示すことが知られています。\*

## 試験のご紹介

スターガルト病の原因はABCA4と呼ばれる遺伝子の変化（バリエーション・変異）であり、これによって特定の脂質が網膜に過剰に蓄積し、視細胞の変性（機能低下）の原因となります。

Tinlarebantはレチノール結合タンパク質4（RBP4）の拮抗（機能阻害）薬です。RBP4は、視力の維持に必要な栄養素であるレチノールを輸送します。Tinlarebantは、RBP4が複合体構造を形成する相互作用を阻害することにより、RBP4の生理作用を阻害します。これにより血中のレチノール濃度が低下し、細胞毒性物質の形成がさらに阻害されるため、スターガルト病の進行を遅らせることができます。

この治験は日本で実施する第Ib相パートと第II/III相パートで構成されます。

### <第Ib相>

スターガルト病と診断された約6例の日本人患者を対象にTinlarebantが体内をどのように移動、通過し、体外へ排出されるかを調べる。

Day 1からTinlarebant 5 mgを1日1回7日間投与する。

被験者はDay 1、2、7、10、14及び21に治験実施医療機関に来院する。

（完了済み）

### <第II/III相>

日本、英国、米国の12歳から20歳までの約60人のスターガルト病（ABCA4網膜症）患者さんを対象に

Tinlarebant 5 mgを1日1回投与したときの有効性を検討する。

国籍や民族性に制限はなく、海外の適格な患者さんも日本の治験実施医療機関で募集する。

被験者はTinlarebant又は対応するプラセボのいずれかによる治療を受ける。Day 1（Month 1）から

Tinlarebant 5 mg又はプラセボを1日1回24ヵ月間投与する。

被験者は3ヵ月に1回治験実施医療機関に来院し安全性及び有効性を評価する。

## 参加条件

- 12～20歳の男女であること。
- スターガルト病の臨床診断を受け、ABCA4遺伝子の変異が1つ以上同定された患者さんであること。
- 被験者及び／又はその（両）親若しくは代諾者は、治験に関連する手順に参加する前に、同意説明書で同意する意思があること。

他にも基準があり、あなたがそれを満たしていない可能性があります。

## 考えられる利益

この治験に参加することであなたが利益を得られるという保証はありません。あなたの状態は、同じままである場合もあれば、改善する場合もあれば、悪化する場合があります。この治験で得られた情報は、スターガルト病の治療法の開発に役立つ可能性があります。



## この試験に関する

### 相談先

この試験についての詳細や、あなたがこの試験に参加できるかどうかについては下記までお問い合わせください。

独立行政法人国立病院機構  
東京医療センター  
実施診療科：眼科  
治験責任医師 藤波 芳  
TEL：03-3411-2526