

## 演題名：希少難病疾患、眼内リンパ腫の治療開発

演者名：田岡和城

#### 本寄付講座について

・希少難病疾患治療開発実践講座

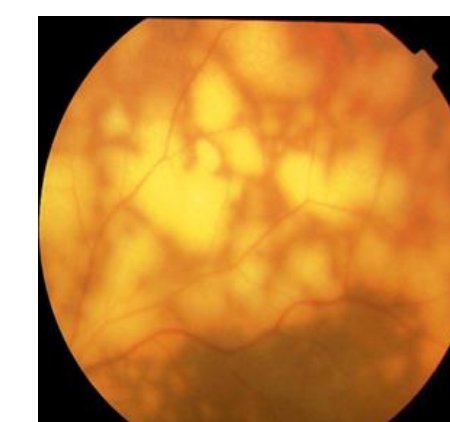
- ・スタッフ名(教員・研究員等)  
特任准教授 田岡和城  
特任助教 木村 麗子(山岸 麗子)
- ・講座の設置期間 2023年4月1日～2026年3月31日
- ・寄附者名・出資者名  
西新宿5丁目駅前眼科、野田病院、有限会社 ヤマダ(医療法人)、株式会社P M A T、小野俊法、愛新覚羅 維
- ・協力の理念  
上記寄附者、出資者においては、希少難病疾患治療開発実践講座において、医師主導試験による希少難病における治療薬の開発、社会実装の理念からご協力して頂いた。
- ・協力講座名  
眼科
- ・講座運営の透明性：医師主導試験であり、アカデミア発の開発である。

#### 本寄付講座の背景、役割、目的

- ・背景：希少難病疾患の病態解明と治療  
希少性、難病であることから、研究開発が困難。
- ・本講座の役割  
希少難病疾患の基礎的な病態解析、薬物開発から、医師主導多施設共同治験による臨床研究
- ・最終的な目的  
社会実装化、人材育成、社会や医学に還元する

#### 研究活動の実際 希少難病：眼内悪性リンパ腫

- ・眼疾患の中で最も生命予後の悪い**難治性疾患**
- ・脳中枢神経系へ**60-80%と高率に進展**  
→中枢性悪性リンパ腫の1亜型
- ・5年生存率：30%～40%
- ・発症率：年間100万人に4.6人(**希少疾患**)
- ・**標準治療は確立されていないアンメットニーズ**



日本発の治療開発

眼内悪性リンパ腫に対する医師主導  
多施設共同治験  
(企業治験は困難)

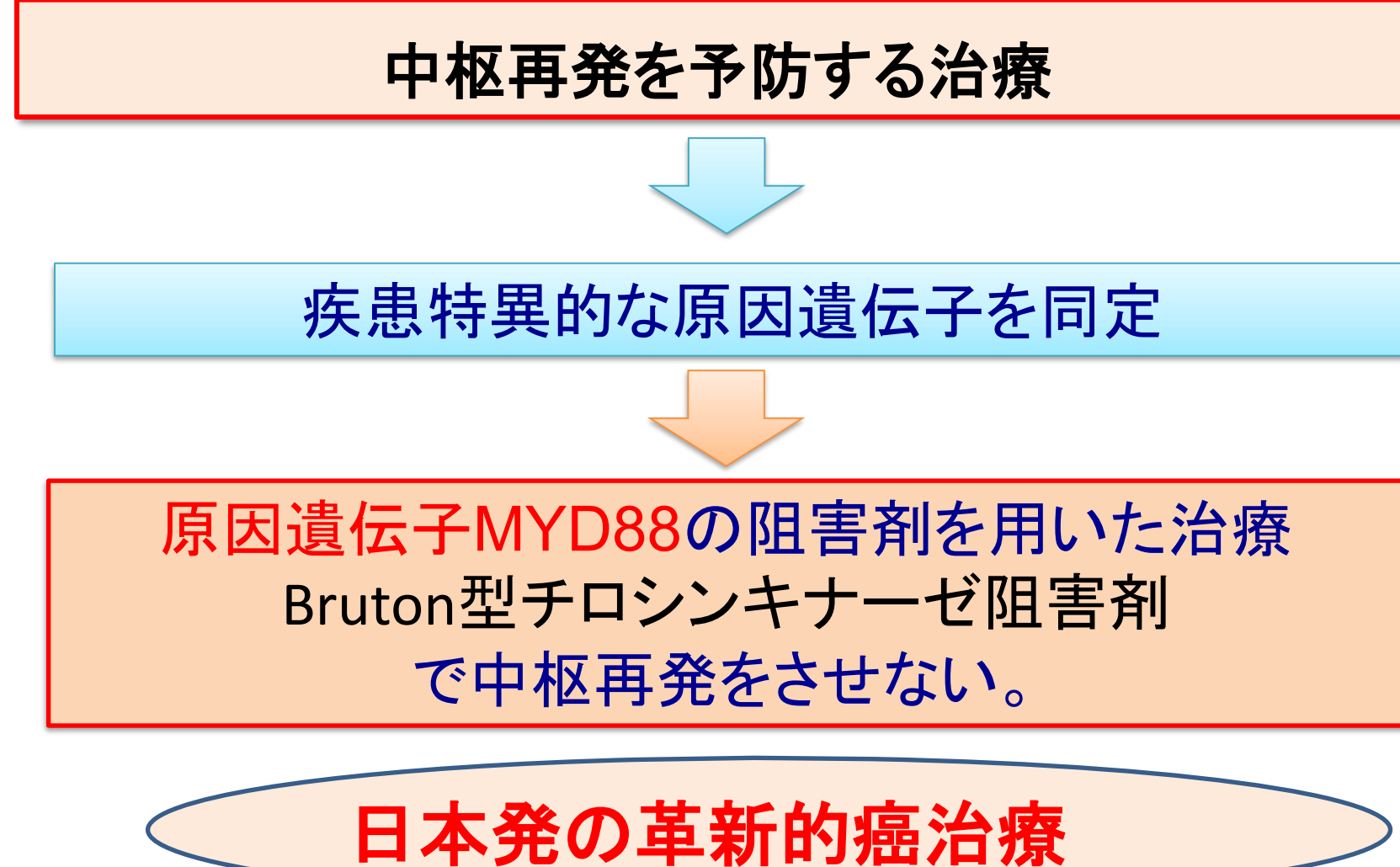
#### 眼内リンパ腫の医師主導試験 (AMED事業)

原発性眼内悪性リンパ腫に対する  
ONO-4059(ブルトンキナーゼ阻害剤)の医師  
主導による第Ⅱ相二重盲検比較試験

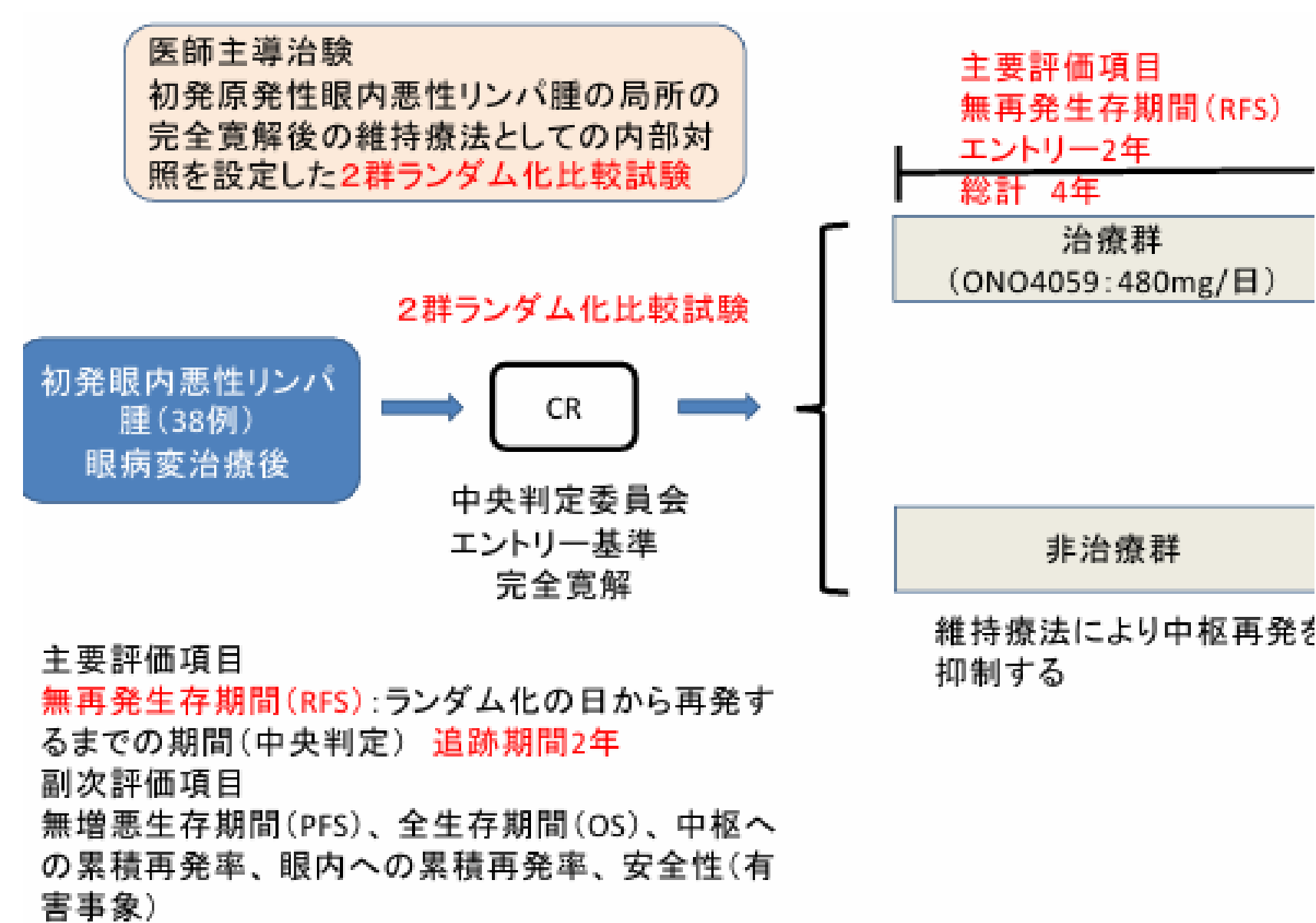
研究代表者 田岡 和城  
東京大学医学部附属病院

#### Bruton型チロシンキナーゼ阻害剤を用いた治療戦略

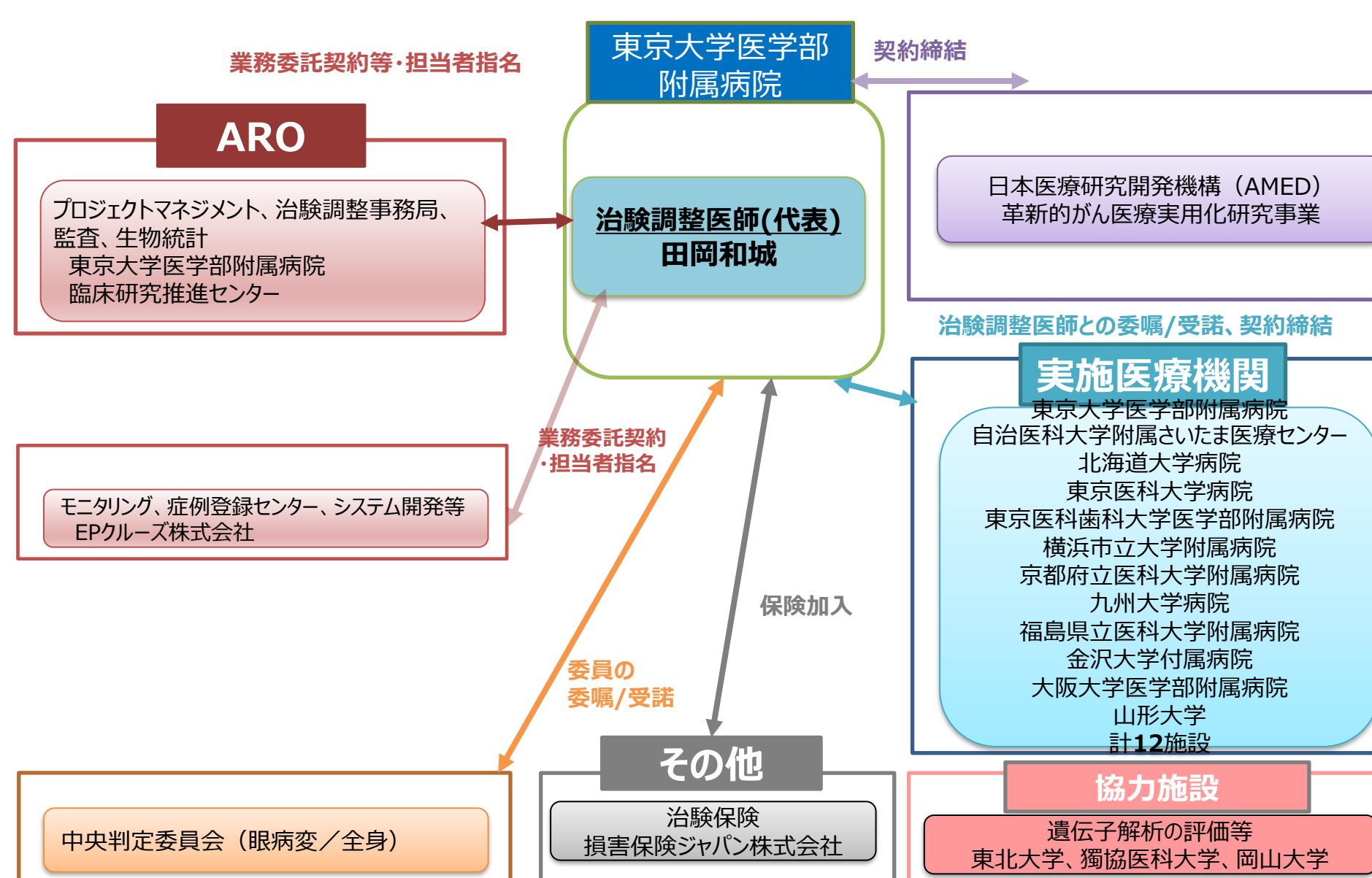
背景：高率な中枢再発(60-80%)が予後不良の要因



#### 臨床試験のデザイン

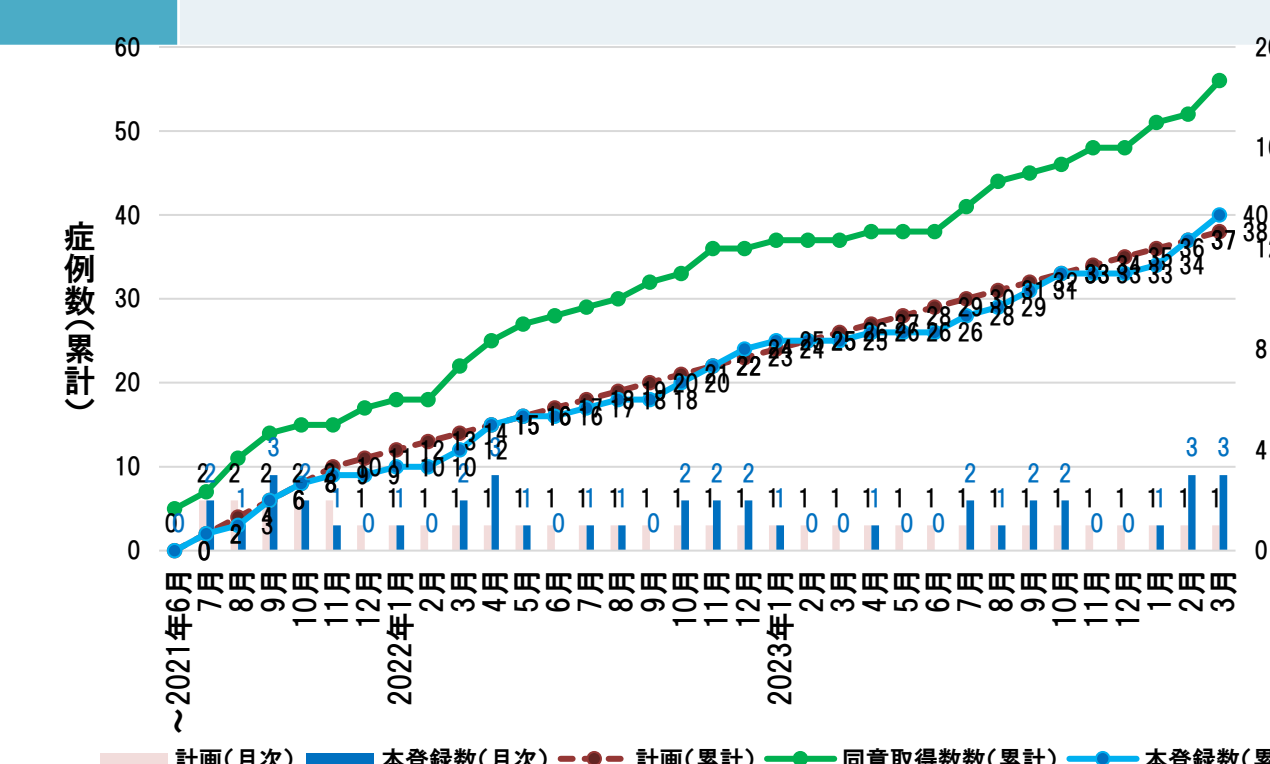


#### 実施体制

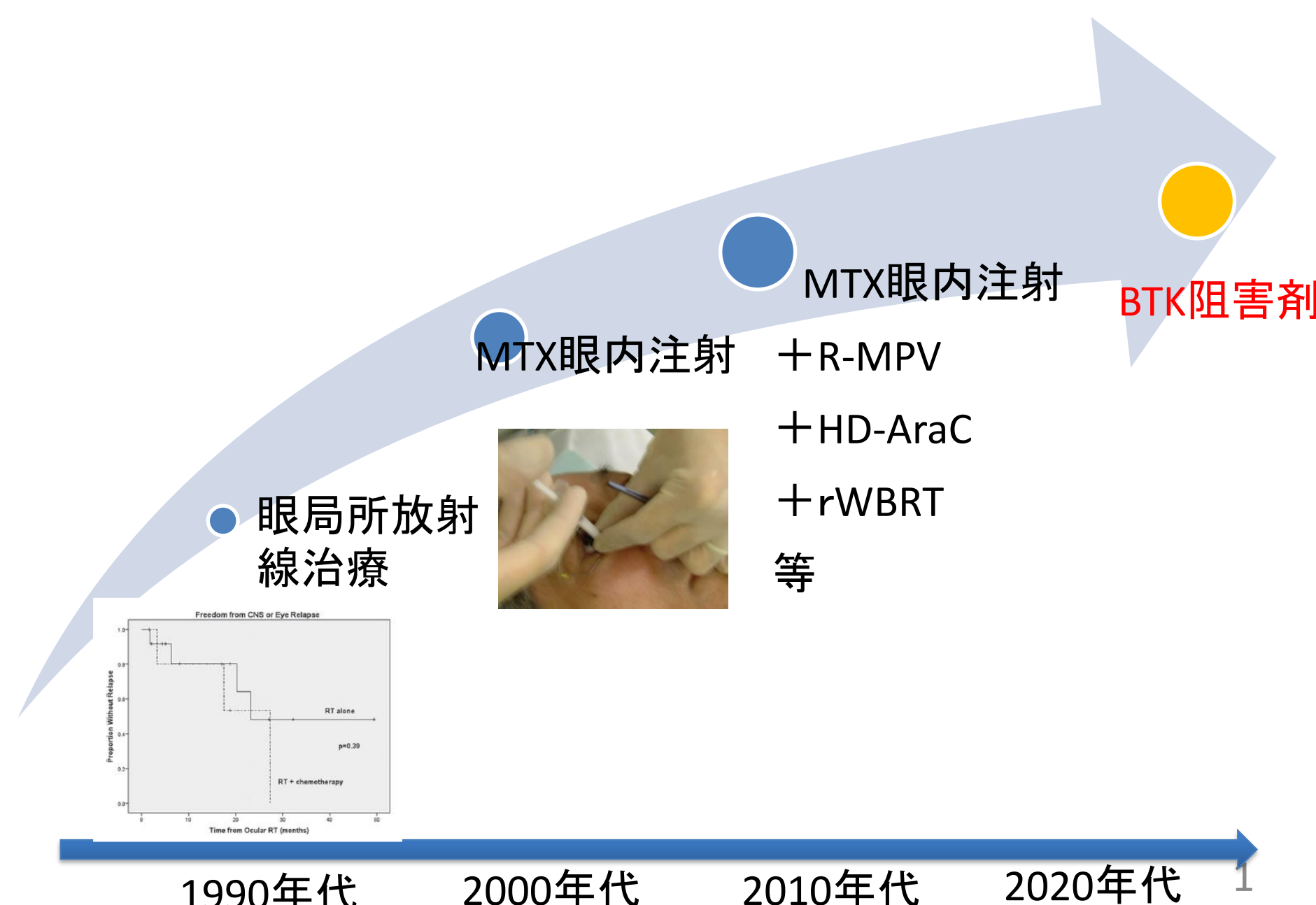


#### 治験期間・進捗

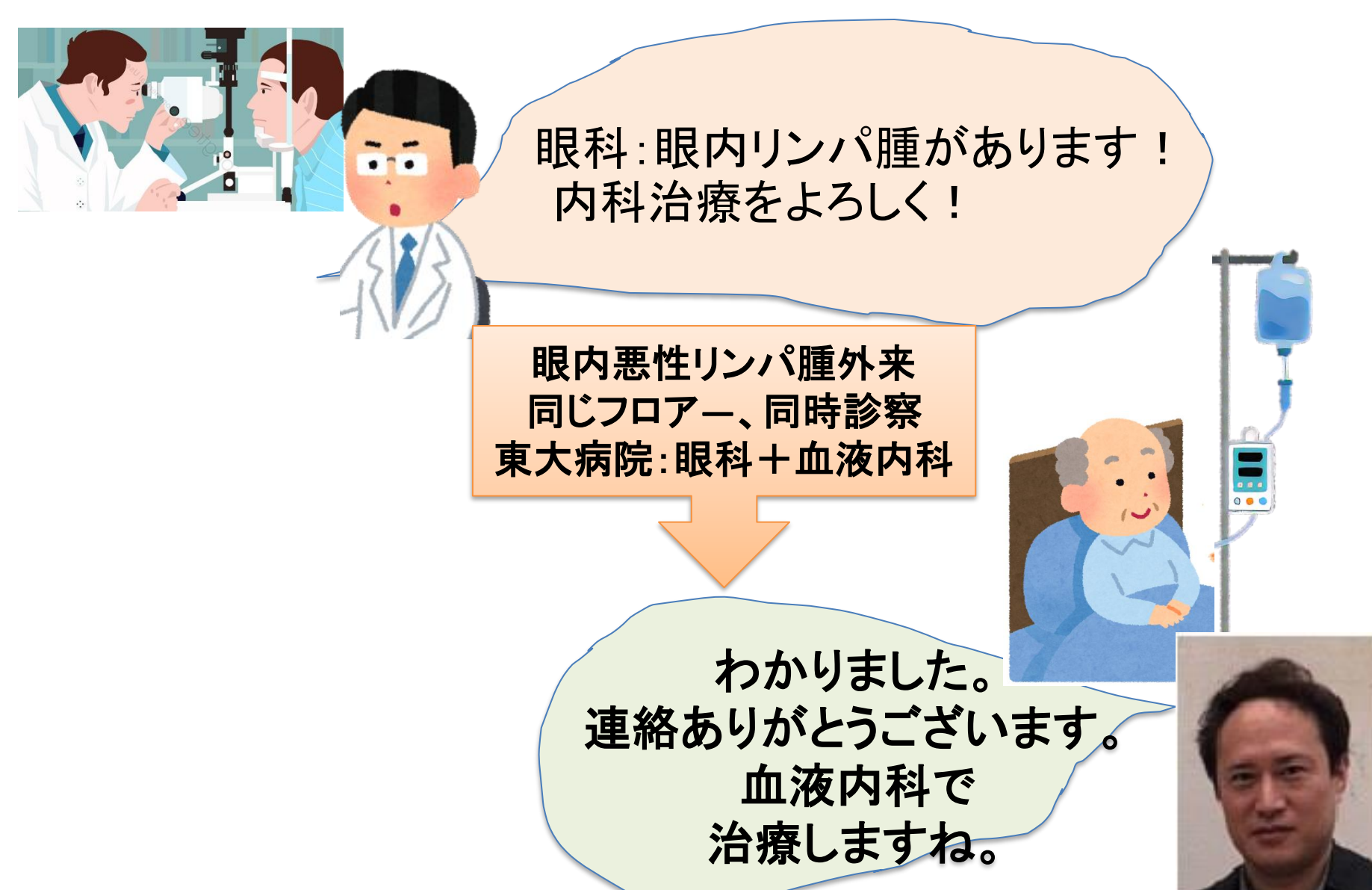
治験期間	2021年2月～2026年3月
組入期間	2021年2月～2024年3月
症例数	全体 40例
試験全体進捗状況	2020年12月22日付で東大病院から承認 2021年1月8日付で治験届提出



#### 眼内リンパ腫の治療の歴史・変遷



#### 東大病院での眼内リンパ腫外来の新設



#### 希少がんの社会還元活動

#### 眼内リンパ腫の患者会・市民活動