



ドラベ症候群に伴うてんかん発作治療薬

「フィンテプラ®」承認取得について

- 乳幼児期に発症する重度の希少てんかんであるドラベ（Dravet）症候群患者のアンメットニーズに応える新薬
- 日本も参加した国際共同無作為化二重盲検プラセボ対照第Ⅲ相臨床試験を含む臨床開発プログラムに基づく承認
- フィンテプラはドラベ症候群に対する希少疾病用医薬品に指定

ユーシービージャパン株式会社（本社：東京都新宿区、代表取締役社長：菊池 加奈子）は、ドラベ症候群に伴うてんかん発作の治療薬として「フィンテプラ®内用液 2.2 mg/mL」（一般名：フェンフルラミン塩酸塩）に関し、「他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない Dravet 症候群患者におけるてんかん発作に対する抗てんかん薬との併用療法」を効能・効果として、本日、厚生労働省より製造販売承認を取得しましたのでお知らせします。

ドラベ症候群は、乳幼児期および小児期に発症するてんかん性脳症のひとつです。頻回かつ重度の治療抵抗性の発作や、頻回の入院や救急医療の必要性、重大な発達障害、運動障害、ならびにてんかんによる予期せぬ突然死（SUDEP）のリスクが高いという特徴がある指定難病です。

代表取締役社長の菊池加奈子は、「既存の抗てんかん薬では治療が難しい希少てんかんであるドラベ症候群に対してフィンテプラが承認されたことを大変うれしく思います」と述べるとともに、「今回の承認は、てんかん領域をけん引する私たちの役割を希少疾患へ拡大するものです。フィンテプラが、乳幼児期に発症する難治性の高いてんかんを抱える日本の患者さんにとって新しい治療選択肢となり、患者さんやそのご家族が笑顔になることを心から願っております」と語っています。

本承認は、小児および若年成人における既存の抗てんかん薬では発作が十分にコントロールできないドラベ症候群に対する国際共同無作為化二重盲検プラセボ対照第Ⅲ相臨床試験を含む臨床開発プログラムの結果に基づいています。そのうち日本人参加者を含む「試験 3」において、けいれん発作回数のベースライン（プラセボ群）からの変化率は、フィンテプラ 0.7 mg/kg/日群で 64.8% ($P < 0.0001$)の減少が認められ、主要評価項目を達成しました。また、本試験プログラムにおけるフィンテプラの忍容性は概ね良好で、既知の安全性プロファイルとも同様でした。

また、フィンテプラは 2021 年 8 月に厚生労働省よりドラベ症候群における希少疾病用医薬品に指定されています。

なお、フィンテプラは、ユーシービージャパンが製造販売元としての責任を担い、2019 年に Zogenix 社（2022 年に UCB が子会社化）と日本新薬株式会社の間で締結された独占販売契約に基づき日本新薬株式会社が国内での情報提供活動および販売を実施します。



*疾患名に関して、添付文書上の表記は「Dravet 症候群」となっております。

【効能又は効果】

他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない Dravet 症候群患者におけるてんかん発作に対する抗てんかん薬との併用療法

【用法及び用量】

(1) スチリペントールを併用する場合

通常、成人及び2歳以上の小児には、フェンフルラミンとして1日0.2mg/kgを1日2回に分けて経口投与する。なお、症状により1日0.4mg/kgを超えない範囲で適宜増減するが、増量は1週間以上の間隔をあけて行うこと。また、1日用量として17mgを超えないこと。

(2) スチリペントールを併用しない場合

通常、成人及び2歳以上の小児には、フェンフルラミンとして1日0.2mg/kgを1日2回に分けて経口投与する。なお、症状により1日0.7mg/kgを超えない範囲で適宜増減するが、増量は1週間以上の間隔をあけて行うこと。また、1日用量として26mgを超えないこと。

ドラベ症候群について

ドラベ症候群は、生涯にわたり継続する重度の希少てんかんの一種であり、一般的に乳幼児期に発症し、ほとんどの患者は認知障害、運動障害、行動障害を伴う発達遅滞の経過をたどり、これは成人期まで持続します。厚生労働省の患者調査では、日本での患者数は約3,000人と推定されています。ドラベ症候群は、疾患に起因する身体的、心理的な負担、また介護や経済的な負担の大きさのために患者さんとそのご家族や介護者の方々のQOLに著しい負担と影響を及ぼします。

フィンテプラ® (フェンフルラミン) について

フィンテプラは2歳以上のドラベ症候群患者におけるてんかん発作を治療するために使用される医療用医薬品です。フィンテプラは、セロトニン作動薬として5-HT1D、5-HT2A および5-HT2C 受容体に対するアゴニスト活性を示すセロトニンを強力に放出し、またシグマ-1 受容体のポジティブモジュレーターとして作用し、発作を抑制する二重活性を有します。フィンテプラは、ドラベ症候群に伴う発作の治療薬として米国および欧州で承認されており、また、レノックス・ガストー症候群に伴う発作の治療薬として適応追加の承認を優先審査の下、米国食品医薬品局（FDA）より取得しています。

フィンテプラは、複数の臨床試験において、ドラベ症候群に伴うけいれん発作の有意かつ持続的な減少が認められており、3つの主要な第Ⅲ相臨床試験では、28日あたりのけいれん発作頻度の変化率の減少がすべての用量群でプラセボ群と比較して統計学的に有意でした。



UCB（ユーシービー）について

UCB (<https://www.ucb.com>) は、ベルギーのブリュッセルに本社を置くグローバルバイオフーマで、ニューロロジーや免疫・炎症領域の重篤な疾患と共に生きる患者さんのより良い生活の実現を目指して、革新的な医薬品の研究開発ならびにソリューションの提供に力を注いでいます。約 40 カ国に拠点を置き、従業員数は 8,600 名あまりを擁しており、2021 年の収益は 58 億ユーロでした。ユーシービーはユーロネクスト・ブリュッセル証券市場に上場しています。

ユーシービージャパン株式会社 (<https://www.ucbjapan.com/>) は UCB の日本法人として 1988 年に設立され、抗てんかん薬「イーケプラ®」、「ビムパット®」、関節リウマチ治療薬および乾癬治療薬「シムジア®」、新規機序を持つ乾癬治療薬「ビンゼレックス®」を中心に医薬品事業を展開しています。患者さんにとっての価値を創造するバイオフーマリーダーとして、従来の治療で十分な改善が得られなかった患者さんに、新たな治療の選択肢を提供することを目指しています。

日本新薬について

日本新薬は、人々の健康と豊かな生活創りに貢献することを使命としています。病気に苦しむ患者さん、ご家族へ福音となる特長あるくすり創りを通して、社会から信頼される企業を目指しています。当社が取り扱っている製品等、詳細な情報については <https://www.nippon-shinyaku.co.jp/> をご覧ください。

この件に関するお問合せ：
ユーシービージャパン株式会社 広報
03-6864-7650

