



## フェンフルラミン塩酸塩、レノックス・ガストー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、フェンフルラミン塩酸塩がレノックス・ガストー症候群（LGS）を対象として、厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けたことをお知らせします。

LGSは、幼少期に発症する難治性の重篤な発達性およびてんかん性脳症であり、国内の患者数は4300人ほどと推定されています<sup>1</sup>。多様な薬剤抵抗性のてんかん発作が現れ、神経発達、認知、運動機能の重篤な障害が特徴的な病態です<sup>2,3</sup>。LGSの特徴的なてんかん症状には強直発作（筋肉の収縮）と脱力発作（"ドロップアタック"）があります<sup>2,3</sup>。また、全般強直代間発作（GTC）等のけいれん発作も一般的に観察されます。GTCは身体的な損傷や入院の原因となるだけでなく、てんかんにおける突然死（SUDEP）の主要リスクファクターでもあります。GTCを持つ患者は、他の発作型の患者に比べて約10倍のSUDEPのリスクがあります<sup>4</sup>。

現在、LGS患者を対象として、フェンフルラミン塩酸塩による有効性及び安全性を検証することを目的とした国際共同第Ⅲ相試験（1601試験）を行っています。

当社は、フェンフルラミン塩酸塩が、アンメットメディカルニーズの高い希少疾患であるLGSと共に生きる患者さんの新たな治療選択肢となることを期待しており、本剤をいち早くお届けするために、承認取得に向けて尽力してまいります。

### フェンフルラミン塩酸塩について

フェンフルラミン塩酸塩は2歳以上のドラベ症候群患者およびレノックス・ガストー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。フェンフルラミン塩酸塩は、セロトニンの放出作用及びセロトニン受容体作動薬として5-HT<sub>1D</sub>、5-HT<sub>2A</sub> および5-HT<sub>2C</sub> 受容体に対し特異的にアゴニスト活性を示します。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。フェンフルラミン塩酸塩は、ドラベ症候群に伴うてんかん発作の治療薬として、希少疾病用医薬品の指定を受けており、昨年11月より国内で販売されています。（販売名：フィンテブラ®内用液 2.2 mg/mL）また、ドラベ症候群およびレノックス・ガストー症候群に伴うてんかん発作の治療薬として、米国および欧州で承認を取得しています。



## 希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）について

医薬品医療機器法第 77 条の 2 に基づき、対象患者数が 5 万人未満であること、難病など治療が難しい病気であること、他に代替する適切な医薬品や治療法がないこと、既存の医薬品と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待される等、医療上の必要性が高いことなどの条件に合致するものとして厚生労働大臣が指定します。指定を受けることで、優先的に承認審査が行われます。

## UCB（ユーシービー）について

UCB（[www.ucb.com](http://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ァーマで、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 8,700 名あまりを擁しており、2022 年の収益は 55 億ユーロでした。UCB 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ァ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。

## 出典

- 1 MHLW 2015 (<https://view.officeapps.live.com/op/view.aspx?src=https%3A%2F%2Fwww.mhlw.go.jp%2Ffile%2F06-Seisakujouhou-10900000-Kenkoukyoku%2F0000157321.docx&wdOrigin=BROWSELINK>)
- 2 Knupp K, Scheffer I, Ceulemans B, et al. Efficacy and safety of fenfluramine for the treatment of seizures associated with Lennox-Gastaut syndrome. A Randomized Clinical Trial. JAMA Neurol. 2022;79(6):554-564.
- 3 Strzelczyk A, Schubert-Bast S. Expanding the Treatment Landscape for Lennox-Gastaut Syndrome: Current and Future Strategies. CNS Drugs. 2021;35(1):61-83.
- 4 Knupp K, Scheffer I, Ceulemans B, et al. Efficacy and safety of fenfluramine for the treatment of seizures associated with Lennox-Gastaut syndrome. A Randomized Clinical Trial. JAMA Neurol. 2022;79(6):554-564.

報道関係お問合せ:

ユーシービー・ジャパン株式会社 広報

03-6864-7650