



フィンテプラ®

レノックス・ガストー症候群に対する適応追加承認申請について

- 日本も参加した国際共同第Ⅲ相試験に基づく申請
- 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、レノックス・ガストー症候群（LGS）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 2.2mg/mL（一般名：フェンフルラミン塩酸塩）の適応追加承認申請を本日、厚生労働省に行いましたので、お知らせします。本剤は、本年5月に厚生労働省よりレノックス・ガストー症候群に対する希少疾病用医薬品の指定を受けており、優先審査の対象となります。

今回の申請は、国際共同第Ⅲ相試験（1601試験コホートAおよびコホートB）等の成績に基づいています。1601試験では、LGS患者296名（日本人33名を含む）を対象に、フェンフルラミン塩酸塩による有効性及び安全性を検討しました。1601試験の主要評価項目は、本剤0.8 mg/kg/day群をプラセボ群と比較した場合の転倒発作頻度のベースラインからの変化の割合でした。副次的評価項目は、本剤0.2 mg/kg/day群をプラセボ群と比較した場合の転倒発作頻度のベースラインからの変化の割合、転倒発作頻度がベースラインから50%以上減少した被験者の割合、治験責任医師の評価による臨床全般印象度－改善度に臨床的に重要な改善（中等度改善または著明改善）が認められた被験者の割合、有害事象を含む安全性等でした。

1601試験の主な結果は以下のとおりです。

- プラセボ群と比較して本剤0.8mg/kg/day群で転倒発作頻度の有意なベースラインからの減少が認められ、主要評価を達成しました。また副次評価項目である本剤0.2 mg/kg/day群をプラセボ群と比較した場合の転倒発作頻度のベースラインからの変化の割合は、有意差はなかったものの一部の被験者で減少傾向が示されました。その他の副次評価項目である転倒発作頻度がベースラインから50%以上減少した被験者の割合、治験責任医師の評価による臨床全般印象度－改善度に臨床的に重要な改善が認められた被験者の割合はいずれの投与群においてもプラセボ群と比較して有意な改善が認められました。
- これまで明らかになっている本剤の安全性プロファイルと比較して予期せぬ大きな安全性上の懸念は確認されませんでした。
- コホートB（日本人コホート）において、コホートA（日本以外の地域のコホート）と比較して一貫した有効性及び安全性の結果が確認できました。



フィンテプラの LGS に対する適応追加申請は、米国では 2022 年 3 月、EU では 2023 年 2 月に承認されています。

日本におけるフィンテプラの LGS に対する臨床開発プログラムおよび承認申請はユーシービー・ジャパンが実施し、承認取得後の国内での情報提供活動および販売は、独占販売契約に基づき日本新薬株式会社が行います。

当社は、フィンテプラが、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、承認取得に向けて取り組んでまいります。

フィンテプラについて

フィンテプラは、フェンフルラミン塩酸塩を主成分とす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_{1D}、5-HT_{2A} および 5-HT_{2C} 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。フィンテプラ®内用液 2.2 mg/mL は、2 歳以上の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。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。

レノックス・ガストー症候群 (LGS) について

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¹。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^{2,3}。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^{2,3}。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⁴。

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）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フार्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「イーケブラ®」、「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。

日本新薬について

日本新薬は、経営理念「人々の健康と豊かな生活創りに貢献する」のもと、病気でお困りの患者さんご家族にとって必要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。

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