



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の承認取得

- 日本を含む国際共同第Ⅲ相試験に基づく承認
- 希少疾病用医薬品に指定済み

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）について、レノックス・ガストー症候群（Lennox-Gastaut 症候群：LGS）に伴うてんかん発作の治療薬として本日、厚生労働省より承認を取得したことをお知らせします。

本剤は、同適応症に対しては、昨年5月に厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けております。

LGSは、小児期に発症する難治性てんかんを主症状とする重篤な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と脱力発作があります^{2,3}。また、全般強直間代発作（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を発現する患者は、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。

今回の承認は、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。主要評価項目は、本剤0.7mg/kg/日（フェンフルラミン塩酸塩として0.8mg/kg/日）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率（中央値）であり、プラセボ群では、-7.6%でしたが、本剤0.7mg/kg/日群では、-26.5%でした（ノンパラメトリックANCOVA、 $p=0.0013$ ）。Hodges-Lehmann（HL）法を用いて推定した両群の転倒発作頻度のベースラインからの変化率（中央値）の差は-19.88パーセントポイント（95% CI：-31.02、-8.74パーセントポイント）で、主要評価を達成しました。主な有害事象は食欲減退、疲労、傾眠、下痢、嘔吐、および発熱でした。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新たな安全性上の懸念は確認されませんでした。

ユーシービージャパンは、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を実施し、承認を取得しました。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、LGSのようなアンメットメディカルニーズの高い希少難治てんかんを含むてんかん患者さんへの新たな治療選択肢の提供に今後取り組み、誰もが自分らしく生きられる世の中の実現に貢献してまいります。

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

添付文書情報（今回追加部分のみ）

【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下記の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

- Lennox-Gastaut 症候群

【用法及び用量】

〈Lennox-Gastaut 症候群〉

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を開始用量として1日2回に分けて経口投与し、患者の状態に応じて、1週間以上の間隔をあけて1日0.7mg/kgまで増量できる。1日用量として26mgを超えないこと。

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、2021年8月に希少疾病用医薬品の指定、2022年9月に製造販売承認を取得しており、2022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。

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9,000名あまりを擁しており、2023年の収益は53億ユーロでした。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