

(別添様式)

未承認薬・適応外薬の要望に対する学会見解

1. 要望内容に関連する事項

学会名	日本神経免疫学会	
要望された医薬品	要望番号	II-8
	成分名 (一般名)	4 アミノピリジン (Dalfampridine/ 米国、Fampridine/独、仏、英、豪)
	販売名	AMPYA (米国)、 Fampyra 10mg prolonged-release tablets(独、仏、英) FAMPYRA (豪)
	未承認薬・適応外薬の分類 (該当するものにチェックする。)	<input checked="" type="checkbox"/> 未承認薬 <input type="checkbox"/> 適応外薬
要望内容	効能・効果 (要望された効能・効果について記載する。)	多発性硬化症患者における歩行機能の症状改善
	用法・用量 (要望された用法・用量について記載する。)	通常、成人に対し、本剤 10mg 錠を 1 回 1 錠、1 日 2 回経口投与する。
	備考 (該当する場合はチェックする。)	<input type="checkbox"/> 小児に関する要望 (特記事項等)
現在の国内の開発状況	<input type="checkbox"/> 現在開発中 <input checked="" type="checkbox"/> 現在開発していない <input type="checkbox"/> 開発状況不明 (特記事項等) 次年度以降の臨床治験を目指しているが、日本における MS 症例が少ないこと、他に病勢自体を抑制する薬剤の日本への導入の可能性が あること、などから、現在の状況では日本での臨床治験に入る順番は 3, 4 番目と 考えられ、次年度施行は困難な状況であると考えられる。企業、当学会の MS 治験支援グループで、アジアでの共同治験、国際治験に加わる、等、日本の数 少ない臨床例をカバーし、有効に臨床治験を施行する方策を検討中である。	
「医療上の必	1. 適応疾病の重篤性 <input type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患)	

<p>要性に係る基準」への該当性 (該当するものにチェックし、分類した根拠について記載する。)</p>	<p><input checked="" type="checkbox"/> イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない (上記に分類した根拠) 個人からの要望書と同様</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない</p> <p><input type="checkbox"/> イ 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている</p> <p><input type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない (上記に分類した根拠) 個人からの要望書と同様</p>
備考	

以下、タイトルが網かけされた項目は、個人又は患者団体より提出された要望書又は見解に補足等がある場合にのみ記載。

2. 要望内容に係る欧米での承認等の状況

<p>欧米等6か国での承認状況 (該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。)</p>	<p><input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 <input type="checkbox"/> 加国 <input type="checkbox"/> 豪州</p> <p>[欧米等6か国での承認内容]</p> <table border="1"> <tr> <td></td> <td colspan="2">欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所)<u>に下線</u></td> </tr> <tr> <td rowspan="4">米国</td> <td>販売名 (企業名)</td> <td></td> </tr> <tr> <td>効能・効果</td> <td></td> </tr> <tr> <td>用法・用量</td> <td></td> </tr> <tr> <td>備考</td> <td></td> </tr> </table>		欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所) <u>に下線</u>		米国	販売名 (企業名)		効能・効果		用法・用量		備考	
	欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所) <u>に下線</u>												
米国	販売名 (企業名)												
	効能・効果												
	用法・用量												
	備考												

	英国	販売名（企業名）	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	独国	販売名（企業名）	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	仏国	販売名（企業名）	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	加国	販売名（企業名）	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
豪州	販売名（企業名）		
	効能・効果		
	用法・用量		
	備考		

<p>欧米等 6 か国での標準的使用状況 <u>（欧米等 6 か国で要望内容に関する承認がない適応外薬についての</u> <u>み、該当国にチェックし、</u> <u>該当国の標準的使用内容を記載する。）</u></p>	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 <input type="checkbox"/> 加国 <input type="checkbox"/> 豪州		
	<p>〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕</p>		
		<p>欧米各国での標準的使用内容（要望内容に関連する箇所を下線）</p>	
	米国	ガイドライ ン名	
		効能・効果 （または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所）	
		用法・用量 （または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所）	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	英国	ガイドライ ン名	

		効能・効果 （または効能・効果に関連のある記載箇所）	
		用法・用量 （または用法・用量に関連のある記載箇所）	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライン名	
		効能・効果 （または効能・効果に関連のある記載箇所）	
		用法・用量 （または用法・用量に関連のある記載箇所）	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン名	
		効能・効果 （または効能・効果に関連のある記載箇所）	
		用法・用量 （または用法・用量に関連のある記載箇所）	
		ガイドラインの根拠論文	
備考			
加国	ガイドライン名		

		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドライ ンの根拠論 文	
		備考	
	豪州	ガイドライ ン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドライ ンの根拠論 文	
		備考	

3. 要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験、薬物動態試験等に係る公表文献としての報告状況

<文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等>

1)

<海外における臨床試験等>

1)

<日本における臨床試験等>

1)

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

<海外における教科書等>

1)

<日本における教科書等>

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

<海外におけるガイドライン等>

1)

<日本におけるガイドライン等>

1)

(5) 要望内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1)

(6) 上記の（1）から（5）を踏まえた要望の妥当性について

<要望効能・効果について>

1) 効能、効果については充分のエビデンスがあり、日本への導入の必要性はある。

<要望用法・用量について>

1) 妥当である。

<臨床的位置づけについて>

1) 病勢を抑制する薬剤ではなく、脱髄に伴う臨床症状（特に歩行障害）の改善をもたらす、ADLを改善する対症療法である。

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1) 海外と同様のデザインの臨床試験が必要であるが、日本での症例数が少ない状況の中で、MSの歩行障害のパターンが多様であることを考慮すると、有効性の検証には多数の症例が必要であると考えられる。他に病勢を抑制する薬

剤で優先すべき薬剤があることから、早急に日本への導入を期待するためには、アジアでの共同治験、国際治験に加わる、等、有効に臨床治験を施行する方策を考慮すべきである。

5. 備考

<その他>

MS 治療薬では海外で承認されたもので、日本で使用できない薬剤が多い。このため、日本人 MS 患者は不利益を甘受している現状である。この原因の一つに、症例数が少ない中で複数の臨床治験が同時進行し、症例数が不足し、完了できないことがあげられる。最近のコパキシソンの治験がこれに当たる。この解決のためには、厚労省、特定疾患調査研究班、当該学会で協議し臨床治験を円滑に行う方策を講じる、あるいは海外の臨床治験に加わる、等の対策が必要であると考えられる。また、アジアでの MS の臨床像は欧米と若干異なっているため、同様な症例群を有するアジアでの共同治験なども行える体制作りも考慮すべきと考えられる。これらのシステムづくりには日本神経免疫学会は最大限の協力をする用意があり、切に希望している。

6. 参考文献一覧

1)