



厚生労働大臣
柳澤 伯夫 様

社団法人 日本てんかん協会
会長 鶴井 啓司



抗てんかん薬の国内開発推進に関する要望書

Inovelon (イノベロン) の日本国内における開発開始に向けご尽力をお願いいたします。

貴職におかれましては、日頃から本協会の活動にご理解・ご支援を賜り、誠にありがとうございます。

さて、本協会ではてんかんによっておこる悩みや苦しみを解決するために、正しい知識の普及啓発、調査研究、施策推進活動、そして相談援護の事業に取り組んでおります。本協会は、約6,000名の会員により組織を構成しており、その会員の6割強がてんかんのある人とその家族が占めるいわば「当事者団体」と言えます。その会員を中心に行っている相談事業では、圧倒的に専門医療に関わる内容が多くニーズの高さを日々感じているところです。

ご存じのように、わが国においてもてんかん治療の基本は薬物療法とされています。本協会では、全国にてんかんのある人々が100万人は存在するであろうと考えており、またその約7割の方々は現在の薬物治療により発作等をコントロールでき、当たり前の地域生活が可能となってきたと思います。しかしながら一方では、副作用に悩まされたり現在の薬だけでは発作を抑えることができない人たちも、少なからず存在しています。そして、この課題を解消するための障壁の一つに、欧米とわが国において治療で使用する薬剤に差異がある点が以前から指摘されています。本協会でも、患者団体では初めて「創薬ボランティア組織」を創設し、これまで幾度となく新薬開発推進に向けた要望を行ってきました。

昨年9月25日、6年ぶりに新薬 (Gabapen/ガバペン) が発売になりました。これは、関係者の間では大変喜ばしい情報であり、本協会でも早速最新情報として機関誌等にて周知をいたしましたところ。この他にも、Topiramate (トピラマート) やLamotrigine (ラモトリギン) などの承認審査が進められているとの情報を本協会でも得ており、大変期待をしています。

そのような中で、Inovelon (イノベロン) が欧州委員会から承認を受け発売が開始されたニュースが入る一方で、日本国内における開発は行われていない旨の情報も得て、本協会としても大変憂慮している次第です。つきましては、てんかんのある人とその家族の切なる思いをご賢察いただき、貴職におかれましては早期国内開発開始に向けた働きかけなどのご尽力を賜りますようお願いいたします。

なお蛇足ながら、本件につきましては既にエーザイ様担当部門への申し入れも行っておりますことを、最後に付記させていただきます。

導入品ルフィナマイドの日本での臨床開発について

2007年7月12日

エーザイ株式会社

1. 欧米における開発の経緯

抗てんかん剤ルフィナマイドは、ノバルティス社が難治性てんかんの併用薬として開発した。臨床試験は、欧米で成人の難治性部分発作を対象に三つの試験（Phase II, III）、小児の部分発作で一つの Phase III 試験、成人の難治性全般発作で一つの Phase III 試験およびレノックスガストー症候群（LGS：Lennox-Gastaut Syndrome）で一つの Phase III 試験を実施し、成人の難治性部分発作と LGS でプラセボに対して統計的に有意な有効性が認められている。

弊社は、ノバルティス社から2004年2月に導入し、2005年3月に欧州にてLGSの併用療法の承認申請を行い、2007年1月、販売承認を欧州委員会（EC：European Commission）より取得した。2005年11月に米国にて成人の難治性部分発作及びLGSについて承認申請を行い、現在審査中である。

2. 日本におけるこれまでの開発状況

日本ではノバルティス社が Phase IIa 試験を終了段階で弊社に導出が決定したため、その後の臨床試験は実施していない。弊社は、日本でのLGSの開発に関して、専門医の意見を聴取した結果、日本での治験実施を見送った。その理由は、①LGSだけで治験を行うには患者数が極めて少ないこと、②海外でLGSの治験はよい結果が得られているが小児部分てんかんでは、良好な成績が得られていないこと、③小児患者での薬物動態を実施していないなどにより、治験実施には、長期間を要すること、である。

3. 今後の開発の可能性について

ルフィナマイドについて日本小児精神学会及び7月の未承認薬検討会での審議の結果、LGSに関して日本での上市の要望があった場合には、下記の内容について総合機構に治験相談を行いたい。

(1) 既存のデータ（ノバルティス社が実施した）のみで日本の承認を取得できる可能性。

(2) 追加臨床試験が必要とされた場合、その内容。

（弊社は、使用経験レベルの臨床試験の実施は可能であるが、検証的試験の実施は不可能と考えている。）

(参考) 欧州での製品概要

小児の早期から発症する重篤なてんかんである LGS の併用療法についての有効性・安全性に関する臨床試験（プラセボを対照とした無作為化二重盲検比較試験）において、「イノベロン」は、LGS に関連した発作の発生頻度を、プラセボと比較して統計的に有意に低下させることが確認されています。

- 1) 製品名： イノベロン（英文正式名称：Inovelon）
- 2) 一般名： ルフィナマイド（英文表記：rufinamide）
- 3) 剤形： 100mg 錠、200mg 錠、400mg 錠
- 4) 適応症： レノックス・ガストー症候群（4才以上）の併用療法

以 上