

「医療上の必要性に係る基準」への該当性  
に関する専門作業班（WG）の評価

＜精神・神経 WG＞

目 次

＜精神・神経用薬分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

本邦における未承認薬

3,4-ジアミノピリジン（要望番号；1）	1
----------------------	---



『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	個人		1
2)	要望された 医薬品	一般名	Amifampridine (3,4-ジアミノピリジン)
		販売名	Firdapse 10mg tablets (欧州)
		会社名	(国内関係企業なし)
3)	要望内容	効能・効果	Lambert-Eaton 筋無力症候群による筋力低下の改善
		用法・用量	<英国、独国、仏国> 成人：3-4 分割/day 15mg/day から開始し、4-5 日毎に 5mg ずつ増量してもよい。 最大用量は 60mg/day で、一回の投与量は 20mg を超えてはいけない。
		要望の分類 (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 (剤形追加も含む)  [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性 Lambert-Eaton 筋無力症候群 (Lambert-Eaton myasthenic syndrome; LEMS) は、肺小細胞癌を高頻度に合併する傍腫瘍性神経症候群で、神経終末部のアセチルコリン (Ach) の放出障害をその病態の基盤とする神経筋接合部・自律神経疾患である。重症筋無力症の治療薬である臭化ピリドスチグミンなどの投与が試みられるが、現段階では厚生労働省の認可を受けている薬剤では十分な治療効果は得られないことが多く、患者は全身筋力低下による臥床状態、呼吸不全に陥る。</p> <p>2. 医療上の有用性 3,4-ジアミノピリジンは、神経筋接合部のアセチルコリンの放出が障害されている Lambert-Eaton 筋無力症に対し、臨床的に有用で安</p>	

		全なことが証明されている。現在 10 年以上の臨床使用があり、その長期使用の安全性も証明されている。
5)	備 考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項]
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	開発企業が未定である。

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

12)	<p>「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)</p>	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li><input type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）</li> <li><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</li> <li><input type="checkbox"/> ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患</li> <li><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</li> </ul> <p>[特記事項] なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li><input checked="" type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない</li> <li><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</li> <li><input type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている</li> <li><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</li> </ul> <p>[特記事項] なし</p>
13)	備 考	