



フェンフルラミン塩酸塩

CDKL5 遺伝子欠損症患者におけるてんかん発作の抑制に対する

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、フェンフルラミン塩酸塩が CDKL5 遺伝子欠損症（CDD）患者におけるてんかん発作の抑制を対象として、厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けたことをお知らせします。

CDD は、CDKL5 遺伝子の異常によって、新生児期から乳児期早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 100 人未満で、主に女兒に発症することが知られています¹。多様な薬剤抵抗性のてんかん発作が現れ、著明な筋緊張低下と重度の精神運動発達遅滞が特徴的な病態です。

CDD のてんかん症状は年齢とともに変化し、3つのステージに分けられています。発症時（ステージ1）は1～10週で、焦点性発作や全身性强直間代発作を頻回に繰り返します。その後6ヶ月～3歳くらいまでに West 症候群へと変容し（ステージ2）、さらに年齢が進むと強直発作やミオクローニー発作が主体となり、間欠期脳波は多焦点性棘徐波複合を示す難治性てんかんへと進展していきます（ステージ3）。言語発達は著しく遅れ、有意語を獲得できない患者さんがほとんどで、自閉症状、手の常同運動、睡眠障害や呼吸障害などの症状が現れることもあります¹。

てんかん発作は、約半数の患者さんで成人までになくなりますが、残りの半数は薬でコントロールできない発作が続きます。日本では CDD 患者におけるてんかん発作の抑制を適応症として承認された薬剤はありません。

現在、CDD 患者を対象として、フェンフルラミン塩酸塩による有効性および安全性を検証することを目的とした日本を含む国際共同第Ⅲ相試験（EP0216 試験）を行っています。

当社は、フェンフルラミン塩酸塩が、アンメットメディカルニーズの高い希少疾患である CDD 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、承認取得に向けて尽力してまいります。



フェンフルラミン塩酸塩について

フェンフルラミン塩酸塩は現在、国内において、2歳以上のドラベ症候群患者およびレノックス・ガストー症候群患者におけるてんかん発作を治療するために使用されています。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。フェンフルラミン塩酸塩は、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、希少疾病用医薬品の指定を受けており、2022年11月より国内で販売されています。（販売名：フィンテプラ®内用液 2.2mg/mL）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。優先審査・優先相談該当品目として指定された場合、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าร์ม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、関節リウマチ治療薬および乾癬治療薬を中心に医薬品事業を展開してきました。2023年より希少疾患領域でも治療薬の販売を開始しました。患者さんにとっての価値を創造するバイオフาร์ม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。

出典

1 厚生科学審議会 疾病対策部会 指定難病検討委員会（第21回）疾患個別表（資料1）

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