

治験の結果



| | |
|------------|--|
| 治験依頼者: | エーザイ株式会社 |
| 治験薬: | ペランパネル(別名Fycompa [®] 又はE2007) |
| 簡単な治験タイトル: | てんかん及び部分発作が未治療の患者が他の治療を開始する前のペランパネルの有効性と安全性を検討する試験 |

ご協力へのお礼

治験薬ペランパネル(E2007)の治験にご参加になった方及びその介護者の皆様へのお知らせです。皆様、介護者の方、そしてご参加いただいたすべての方のお力添えにより、てんかん及び部分発作が未治療の患者様に役立つペランパネルについて、研究者は理解を深めることができました。

今回の治験の依頼者は本邦の製薬会社「エーザイ株式会社」であり、あなたのお力添えに対して大変感謝しています。同社は人々が健やかな毎日を送れるよう、ニーズに応えきれていない分野の研究を続け、ご参加いただいた治験の結果をお伝えしています。

同社はこの概要報告書を作成する際に、医療や薬事に関わる文書の作成を専門とするCertara Synchrogenix(セターラ・シンクロジェニックス)社の協力を得ています。

なお、ご参加いただいた治験の結果について疑問に思うことなどがあれば、治験実施医療機関の担当医師やスタッフにお尋ねください。

この概要報告書の内容について

この概要報告書は治験の結果を総合的に示しています。ご参加いただいた方の個別の結果は本報告書に示されていないため、全体的な結果とは異なっているかもしれません。

本報告書の末尾に記したウェブサイトにて、研究者が調査対象とした項目がすべて掲載されています。この治験に関する科学的な報告書は、発表された時点から本報告書末尾のウェブサイトで閲覧できるようになります。

研究者は数多くの治験結果に目を通して、どの治療法の効果が一番高く、副作用が少ないかを判断しています。新しい情報や異なる結果が出ている治験があるかもしれません。治療方法を決めるときには必ず医師と相談してください。

てんかんについて



てんかんは脳に影響を与え、脳の活動に異常をきたす神経系の疾患です。本疾患は発作、認識及び意識障害を引き起こします。てんかんは悪化するため、症状も悪くなります。

部分発作はてんかんの中でも最も頻度の高いものです。初めは脳の特定の部位から発症し、これは認識や意識障害との関連していない可能性があります。

二次性全般化発作は、脳の特定部位から全脳へと広がった発作です。

治験開始後に起こった出来事について

本治験は2017年6月に開始され、2020年7月に終了しました。

集めたデータを治験依頼者が見直し、結果をまとめて作成したのが、この概要報告書です。

本治験には、日本及び韓国の治験実施医療機関38カ所から98名の参加者がスクリーニングされ、参加しました。

本治験にスクリーニングされた参加者98名のうち、89名が少なくとも1回治験薬を服用しています。

治験の必要性について

治験は数多くの重要な問題に答えてくれます。本治験では、部分発作が未治療の患者さんが他の治療を開始する前に投与したペランパネル有効性と安全性の解明が必要でした。

欧州連合、米国、日本、その他50カ国では、すでに部分発作の患者さんの治療において、ペランパネル錠と他治療との併用が承認されています。ただし、部分発作の治療においては、単独療法が推奨されています。そこで、ペランパネルを他の抗けいれん薬と併用せずに服用した場合、未治療の部分発作をコントロールすることができるかについて、解明が望まれました。

本治験の研究者は、参加者の皆様が治験中に有害事象をきたすことがないかについても、解明したいと望んでいました。有害事象とは医学的な問題のことで、治験薬との関連性は問いません。

本治験で解明が望まれる主な事項は次の通りでした：

- ペランパネル4 mgの1日1回投与を26週間継続した後、どのくらいの参加者で発作がなくなったか。
- ペランパネル4 mg～8 mgの1日1回投与を26週間継続した後、どのくらいの参加者で発作がなくなったか。
- ペランパネルを服用した参加者にどのような有害事象があったか。

ここで重要なのは、今回の治験は上記の事項に対してできるだけ正確な結果を得られるようにと考えて計画されていたということです。ペランパネルの有効性についてより詳細に解明するため、他にも課題がありましたが、それらは今回の治験を計画する上での主要課題ではありませんでした。

治験の内容について

ペランパネルの有効性と安全性についてより深く知るため、研究者は皆様にご協力をお願いしました。本治験の参加者は15～72歳でした。

本治験の参加者はすべて、二次性全般化発作の有無にかかわらず、部分発作の治療は受けていません。

本治験は「非盲検」でした。これは、参加者、介護者、治験担当医師とスタッフ、治験依頼者のいずれも、どの参加者がどの薬物を服用していたか知っていたことを意味します。

本治験は、投与前期、投与期、延長期の3相で構成されました。

投与前期では、参加者が本治験に参加することができるかを確認しました。また、参加者又は介護者は発作回数及びその種類について、質問票と日誌に記入するように求められました。

投与期には参加者は治験薬の服用を開始しました。投与期は、4 mg投与期(高用量が必要な参加者では8 mg投与期)で構成されました。

- 4 mg投与期には、参加者は2週間1日1回、ペランパネル2 ミリグラム(mg) 1錠の服用で開始しました。この後、2 mgを2 mg増量して1日量を4 mg(2 mgペランパネル各2錠)とし、1日1回4週間服用してもらいました。これを4 mg漸増期と呼びます。

26週間の維持期では、参加者はペランパネル4 mg、1日1回の服用を継続しました。

- 8 mg投与期では、参加者は2 mgペランパネル3錠(すなわち、合計6 mg)の2週間の服用で開始しました。この後、6 mgを2 mg増量して1日量を8 mg(2 mgペランパネル4錠)とし、1日1回2週間服用してもらいました。これを8 mg漸増期と呼びます。

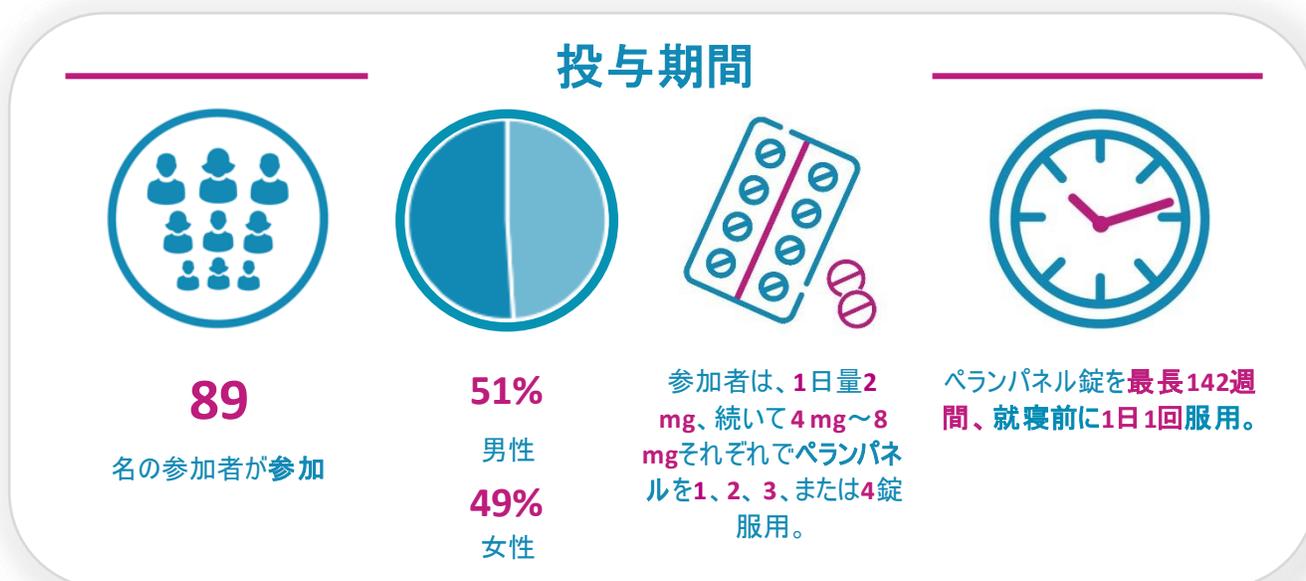
26週間の維持期では、参加者はペランパネル8 mg、1日1回の服用を継続しました。

本治験の投与期を終了した参加者は、本治験の延長期に、維持期で最後に服用していた用量(4 mg又は8 mg)でペランパネルの服用を継続することができました。各国でペランパネルが承認された後、延長期は最長3ヵ月継続しました。

治験薬は、就寝前に1日1回、錠剤を経口で服用しました。

参加者が治療を受けた方法

以下の図は本治験の投与方法を示しています。



治験中に行うこと

以下の図は治験の投与期と延長期に行うことを示しています。

投与期

投与期(最長62週間)に治験担当医師またはスタッフが行った事項:

- 参加者の健康及び心臓の状態の確認、服用中の薬物の確認、血圧又は尿検体の採取。
- 参加者の気分と有害事象がなかったかの確認。
- 参加者又は介護者に質問票の記入を依頼。
- 参加者又は介護者に日誌の記入と来院時の持参を依頼。

延長期

投与期を終了した参加者の一部は本治験の延長期に参加。

- 参加者又は介護者全員が日誌の記入を継続。
- 治験担当医師又はスタッフが参加者の健康及び心臓の状態の確認、服用中の薬物の確認、血圧又は尿検体の採取を継続。
- 参加者又は介護者に質問票の記入継続を依頼。

参加者が治験を中断又は終了した場合は、最終来院と検査のため、最後の服用後約4週間に、治験実施医療機関に再来院してもらいました。

参加者が治験を中断した場合は、早期中止時来院で日誌を返却してもらいました。

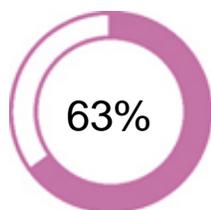
治験の結果について

治験薬を服用した参加者89名のうち、73名が4 mgの維持期に参加し、少なくとも1回発作日誌に記入しました。

ペランパネル4 mg、1日1回を26週間投与後、どの程度の参加者が発作なく過ごせましたか？

この疑問に答えるため、参加者又は介護者に日誌をお渡しし、治験中にどのような発作が何回あったかを記録してもらいました。発作がなかった参加者数を調べるため、研究者は日誌を確認し、26週間の投与期に参加者が発作を起こしたかどうかを調べました。

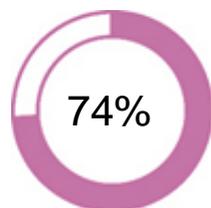
以下の図は、発作がなかった参加者の平均値(パーセンテージ)を示しています



全体では、ペランパネル4 mg、1日1回、26週間の投与後、発作がなかった参加者は73名中46名(63%)でした。

ペランパネル 4 mg～8 mg、1 日 1 回、26 週間の投与後、発作がなかった参加者は何名でしたか？

以下の図は発作がなかった参加者のパーセンテージを示しています。



全体では、ペランパネル4 mg～8 mg、1日1回、26週間の投与後、発作がなかった参加者は73名中54名（74%）でした。

参加者に生じた健康上の問題について

治験中に現れた健康上の問題を「有害事象」といい、命に関わるようなもの、なかなか治らないもの、入院する必要があるものを「重篤な有害事象」といいます。

ここからは、治験中に起きた有害事象の概要を記載します。なお、これら健康上の問題の原因は必ずしも治験薬にあるとはいえません。報告書の末尾に記載したウェブサイトにて、この治験中に起きた健康上の問題のことが詳しく書かれている場合があります。医薬品が健康上の問題を引き起こすかどうかは、多くの研究によって調べる必要があります。

治験薬を少なくとも1回服用した参加者89名全員の結果が以下に含まれています。全員が、少なくとも1回健康上の問題について、治験担当医師の診察を受けています。

有害事象が起きた参加者の人数は？

本治験では、89名中74名の参加者（83%）で有害事象が発症しました。

本治験中に有害事象が起きた人数を下表にまとめています。

治験中にみられた有害事象

| | ペランパネル (参加者89名) |
|---------------------------|--------------------|
| 有害事象が起きた参加者の人数 | 74 (83%) |
| 重篤な有害事象が起きた参加者の人数 | 13 (15%) |
| 有害事象のため、治験薬の服用を中止した参加者の人数 | 9 (10%) |

有害事象がみられた参加者の割合(%)。

最もよくみられた重篤な有害事象は？

命に関わるようなもの、なかなか治らないもの、入院する必要があるものを「重篤な有害事象」といいます。

本治験では、89名中13名の参加者（15%）が重篤な有害事象を発症しました。

2%以上の参加者に発生した重篤な有害事象を下表にまとめています。重篤な有害事象は他にも起きていますが、人数は少なかったです。

治験中に最もよくみられた重篤な有害事象

| | ペランパネル (参加者89名) |
|-------|--------------------|
| 上腕骨骨折 | 2 (2%) |
| てんかん | 2 (2%) |

有害事象がみられた参加者の割合(%)。

本治験で重篤な有害事象により亡くなった方はいませんでした。

最もよくみられた有害事象

本治験では、89名中74名の参加者（83%）で有害事象が発症しました。

5%以上の参加者に発生した有害事象を下表にまとめています。有害事象は他にも起きていますが、人数は少なかったです。

治験中に最もよくみられた有害事象

| | ペランパネル (参加者89名) |
|-------------|--------------------|
| めまい | 34 (38%) |
| 鼻及び喉の感染(風邪) | 19 (21%) |
| 頭痛 | 13 (15%) |
| 眠気 | 12 (14%) |
| てんかん | 6 (7%) |

有害事象がみられた参加者の割合(%)。

患者と研究者にとっての治験のメリット

本治験では、4mg～8 mgのペランパネルを1日1回服用した際、未治療の部分発作患者にペランパネルが有効かどうかを検討しました。

研究者は数多くの治験結果に目を通して、どの治療法の効果が一番高く、副作用が少ないかを判断しています。この概要報告書に記載しているのは1つの治験で得られた主な結果だけです。新しい情報や異なる結果が出ている治験があるかもしれません。

今後ペランパネルの治験を行う予定はありません。

治験の詳細について

今回の治験の詳しい情報は以下のウェブサイトでご覧いただけます。この治験に関する科学的な報告書が発表されたら、下記のウェブサイトで見られるようになります。

- <http://www.clinicaltrialsregister.eu> - ウェブサイトにアクセスしたら、「**Home & Search**」をクリックし、検索ボックスに**2019-003734-17**と入力して「**Search**」をクリックしてください。
- <http://www.clinicaltrials.gov> - ウェブサイトにアクセスしたら検索ボックスに**NCT03201900**と入力して、「**Search**」をクリックします。

詳細な治験タイトル: 部分発作(二次性全般化発作を含む)を有する未治療の患者を対象とした、ペランパネル単独療法の有効性及び安全性を確認する、多施設、非対照、非盲検試験及び延長試験

治験実施計画書番号: E2007-J000-342

治験依頼者のエーザイ株式会社は東京に本社をおき、米国・ニュージャージー州ウッドクリフレイクおよび英国・ハートフォードシャー州ハットフィールドに海外拠点をおいています。お問い合わせ窓口の電話番号は44-845-676-1400です。

ご協力ありがとうございました。

本治験への参加に興味を持っていただき、お忙しい中ご協力くださったことに、エーザイ株式会社よりお礼申し上げます。あなたのご参加は、研究、そして医療の改善への貴重な貢献となりました。



エーザイ株式会社は本社を日本におく、研究開発型グローバル製薬企業です。「患者様とご家族の喜怒哀楽を第一義に考え、そのベネフィット向上に貢献する」を企業理念掲げ、それを我が社のヒューマンヘルスケア(hhc)理念と呼んでいます。がん領域と神経領域を含む、今なお十分な治療法が確立していない幅広い疾患領域に画期的な治療薬を届けることでhhcの理念を実現できるよう、世界に広がる研究開発拠点、生産拠点、マーケティング子会社の1万人を超える従業員と共に努力を続けてまいります。詳細につきましては<http://www.eisai.com>をご覧ください。

synchrogenix

A CERTARA COMPANY

医療や薬事に関わる文書の作成を専門にするグローバル企業のSynchrogenix(シンクロジェニックス)社は、治験の参加者募集および治験の実施には関与していません。

Synchrogenix Headquarters 2 Righter Parkway, Suite 205 Wilmington, DE 19803

<http://www.synchrogenix.com> • 1-302-892-4800