

2013年3月14日

厚生労働大臣
田村 憲久 殿

日本小児神経学会

理事長 大野 耕策

日本てんかん学会

理事長 兼子



トピラマートの小児適応の早期承認に関する要望

厚生労働省におかれましては、平素薬事行政に関し一方ならぬご尽力、ご指導を賜り、心から感謝申し上げます。

この度は、てんかん治療薬トピラマート（販売名：トピナ）の小児適応の早期承認に関し、ご配慮賜りますようお願い申し上げます。

近年わが国でもいくつかの新規抗てんかん薬が主に成人患者を対象に承認され、薬物治療の選択肢が増えてきました。トピラマートも2007年7月にわが国で「成人の他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する抗てんかん薬との併用療法」を適応症として承認されました。

小児てんかん患者に関しては、トピラマートは1998年2月に英国で部分発作をはじめ、全般性強直間代発作およびLennox-Gastaut症候群に伴う発作に対する、他の抗てんかん薬との併用療法が承認されて以降、各国で承認され、小児への有効性および安全性が示されています。てんかんは小児期に発症する症例が多く、早期からの十分な治療が小児てんかん患者の健やかな成長・発達を促し、生活全般の改善をもたらすために重要です。また、成長過程で長期間内服することから、副作用に関する配慮もきわめて重要です。トピラマートは幅広い作用機序をもつため有効性のスペクトラムが広く、他剤との相互作用が少なく、重大な副作用の少ない優れた薬です。今回わが国でも部分発作を対象とした小児治験が行われ、有効性および忍容性が確認されました。私ども日本小児神経学会と日本てんかん学会は2008年7月に「小児てんかん治療薬（トピラマート）の国内開発推進に関する要望書」を提出しております。また、日本てんかん学会は2009年7月に「新規抗てんかん薬認可後についての要望および小児抗てんかん薬認可促進の要望」を提出しております。

一方、国内におけるトピラマートの小児適応を目的とした開発は、協和発酵キリン株式会社により進められていましたが、この度小児患者に対する用法・用量の追加を目的とする承認事項一部変更承認申請、ならびに細粒剤の剤形追加を目的として承認申請されたと聞きおよびました。

近年新薬開発が促進されたため、審査業務に多大なご尽力をいただいていることは重々承知しておりますが、今後速やかな審査により、本剤が一刻も早く承認され、早期に臨床使用が可能となりますようご配慮を賜りたく、ここにお願い申し上げます。