

厚生労働大臣 田村 憲久 様

公益社団法人 日本てんかん協会  
会長 梅本 里美

## ラパリムス® (シロリムス) 適応拡大承認に関する要望書

厚生労働省が難病に指定（指定難病番号137）をしている「限局性皮質異形成（FCD）」の主な症状には、てんかん発作があります。FCDは乳幼児期の発症が多く、発達にも影響を及ぼし遅れが生じる人もいます。FCDによるてんかん発作は、多くの場合が難治性であり年齢とともに軽快することもなく、その頻回に繰り返す発作により生活のしづらさが大きくなり、けいれん重積状態による重篤な後遺症が生じる人もいます。

FCDの有効な治療法は確立しておらず、抗てんかん薬による対症療法が中心ですが、薬剤治療に反応し、発作が一時的に消失する例は2割にも満たないのが現状です。薬剤難治例に対して外科治療が行われることがありますが、約半数の人は発作を消失するものの、残りの人は発作が継続してしまいます。また、病変が脳の機能的に重要な部分に存在する場合は、手術後に後遺症が出現する可能性も大きく、手術ができないこともあります。このため、FCDの新たな治療法の開発が求められています。

FCDは、病理学的にI型、II型、III型に分類されます。これまでFCDの原因は不明でしたが、近年FCD II型の原因が脳細胞のmTOR遺伝子の変異により、細胞中で信号を伝えるタンパク質「mTOR」の機能亢進による活性化であることが明らかになりました。そのため、mTOR阻害剤であるシロリムスとその誘導体が、FCDによる難治性てんかんの治療薬となることに期待が高まっています。

以下に、要望する具体的な項目を示します。実現に向けた、ご高配をお願い申し上げます。

### 記

#### 1. 限局性皮質異形成（FCD）II型のでんかん発作に対するシロリムスの適用拡大について早期承認をお願いします。

シロリムスは、現在リンパ脈管筋腫症を効能・効果として承認を受けていますが、FCD II型による部分てんかん発作に対しても有効かつ忍容性が良好である、という医師主導治験による報告があります。現在、FCDに対して有効な治療薬がない中で、私たちにとっては一筋の光明ともいえます。「ラパリムス®」（シロリムス）の適用（効能・効果）拡大申請が一日も早く承認されるために、審査を推進していただきますようよろしくお願いいたします。

以上