目次

2.2 緒言 2

2.2 緒言

イカチバント酢酸塩（以下、本剤）は、[redacted]年に Hoechst 社（現：Sanofi 社）により創製された合成デカペプチドであり、ブラジキニン B2 受容体に対する強力かつ特異的な競合的拮抗作用により、遺伝性血管性浮腫（HAE）の急性発作の症状を緩和する。

HAE は、C1 エステラーゼインヒビター（C1-INH）遺伝子の変異により生じる C1-INH の量的欠損（I 型）及び／又は機能的欠損（II 型）に起因する稀な遺伝性疾患であり、通常小児期／青年期から発症し、生涯にわたって発作が繰り返される、消耗性かつ生命を脅かす疾患である。しかしながら、国内では未だ小児に対する適応を有する治療薬はなく、成人 HAE の急性発作を効能効果として承認されているヒト血漿由来濃縮 C1 エステラーゼインヒビター(C1-INH)製剤であるベリナート P 静注及びブラジキニン B2 受容体拮抗薬である本剤が、個々の医師の判断による適応外使用として例外的に使用されているのが現状である。

このような背景のもと、武田薬品工業株式会社は、成人の HAE の急性発作に対する製造販売承認を取得済みの本剤について、2 歳以上 18 歳未満の小児 HAE 患者に対する用法及び用量の追加を目的とした開発を行った。

日本人小児患者を対象とした国内第 3 相非盲検試験（TAK-667-3001）では、2 例に本剤が投与（自己投与）された。有効性評価項目である発作症状緩和までの時間は、思春期前 1 例で 1.0 時間及び思春期／思春期後 1 例で 0.9 時間であり、いずれも早期からの発作症状緩和が認められた。思春期前 1 例に 2 回目及び 3 回目の本剤が投与されたが、発作症状緩和までの時間はいずれも 1.0 時間であり、1 回目の投与と同様に、有効性が認められた。また、安全性に問題はみられず、忍容性は良好であった。

外国人小児患者を対象とした海外第 3 相非盲検試験（HGT-FIR-086）では、有効性評価項目である発作症状緩和までの時間の中央値（95%CI）は 1.0 時間（[1.0, 1.1]時間）であり、早期からの発作症状緩和が認められた。また、安全性に問題はみられず、忍容性は良好であった。

小児 HAE 患者を対象とした臨床試験成績を踏まえ、成人の HAE 患者に対して有効性及び安全性が確立している本剤を 2 歳以上の小児 HAE 患者に対する治療薬として医療現場に提供することは意義があると考えられる。

本剤の 2 歳以上の小児に対する効能又は効果等を以下に示した。

販売名	フィラジル皮下注 30 mg シリンジ
原薬の一般名	イカチバント酢酸塩
企業名	武田薬品工業株式会社
剤形	注射剤（プレフィルドシリンジ）
含量（力価）	1 シリンジ（3.0 mL）中イカチバント酢酸塩 34.14 mg（イカチバントとして 30.00 mg）
投与経路	皮下注射
申請区分	医療用医薬品（6）新用量医薬品
効能又は効果	遺伝性血管性浮腫の急性発作