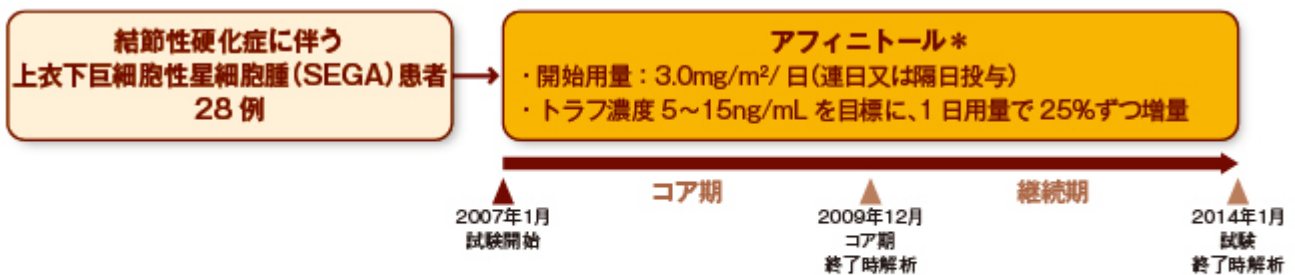




□□□□□□ □□□□□□□□□□□□□□□□□□  
□□□□□□□

Image



コア期:投与期間6ヵ月間

継続期:最後の被験者が投与を開始してから最低60ヵ月(5年間)経過するまで

\*本試験ではアフィニトール錠2.5mg・5mgを使用した。本試験で使用されたアフィニトール錠とアフィニトール分散錠の間で生物学的同等性は示されていない。本項では、試験終了時解析(2014年1月データカットオフ)までの成績を示す(顔面血管線維腫に関する奏効に関しては2011年12月データカットオフ)。



		アフィニートル投与 (n=28)
年齢:歳 中央値 [範囲]		11.0 [3 - 34]
年齢群 例数 (%)	3歳以上12歳未満	16 (57.1)
	12歳以上18歳未満	6 (21.4)
	18歳以上	6 (21.4)
性別 例数 (%)	男性	17 (60.7)
	女性	11 (39.3)
人種 例数 (%)	白人	24 (85.7)
	黒人	2 (7.1)
	その他	2 (7.1)
体表面積:m <sup>2</sup> 中央値 [範囲]		1.38 [0.6 - 2.6]
結節性硬化症と 診断された 被験者 <sup>a</sup> 例数 (%)	主要特性が2項目以上 認められる被験者	28 (100.0)
	主要特性が1項目のみ、 副次的特性が2項目 以上認められる被験者	0
結節性硬化症診断基準 (修正Gomez基準) 主要特性 例数 (%)	SEGA	28 (100.0)
	皮質結節	28 (100.0)
	上衣下結節	28 (100.0)
	顔面血管線維腫又は 前額プルーク	25 (89.3)
	3つ以上の白斑	24 (85.7)
	腎AML	22 (78.6)

		アフィニートル投与 (n=28)	
結節性硬化症診断基準 (修正Gomez基準) 主要特性 例数 (%)	単発性又は 多発性心横紋筋腫	17 (60.7)	
	シャグリンパッチ	9 (32.1)	
	非外傷性多発性 爪囲線維腫	6 (21.4)	
	多発性の網膜の過誤腫	4 (14.3)	
	LAM	0	
	結節性硬化症診断基準 (修正Gomez基準) 副次的特性 例数 (%)	多発性腎嚢胞	10 (35.7)
		腎以外の過誤腫	7 (25.0)
		散在性小白斑	4 (14.3)
		歯肉の線維腫	3 (10.7)
		網膜無色素斑	2 (7.1)
歯エナメル質の 多発性小腔		2 (7.1)	
骨シスト		1 (3.6)	
放射状大脳白質神経 細胞移動線	1 (3.6)		
過誤腫性直腸ポリープ	0		

1. LAM AML

2009年12月

SEGA

SEGA

Image

		アフィニートル投与 (n=28)
標的SEGA病変数 例数 (%)	1	15 (53.6)
	2	13 (46.4)
	≥3	0
両側SEGA 例数 (%)	あり	12 (42.9)
	なし	16 (57.1)
Inferior growth 例数 (%)	あり	0
	なし	28 (100.0)
実質性浸潤 例数 (%)	表面	25 (89.3)
	深部	2 (7.1)
	なし	1 (3.6)
水頭症 例数 (%)	あり	6 (21.4)
	なし	22 (78.6)

Image

		アフィニール投与 (n=28)
SEGAに対する前治療あり 例数 (%)		5 (17.9)
	手術	4 (14.3)
	薬物療法	2 (7.1)
治験開始前の抗てんかん薬使用数 例数 (%)		23 (82.1)
	1剤	9 (32.1)
	2剤	9 (32.1)
	3剤以上	5 (17.9)
治験開始前のEIAED使用数 例数 (%)		16 (57.1)
	1剤	13 (46.4)
	2剤	3 (10.7)

□2010□12□□□□□□□□□□□□□□□□

□□□

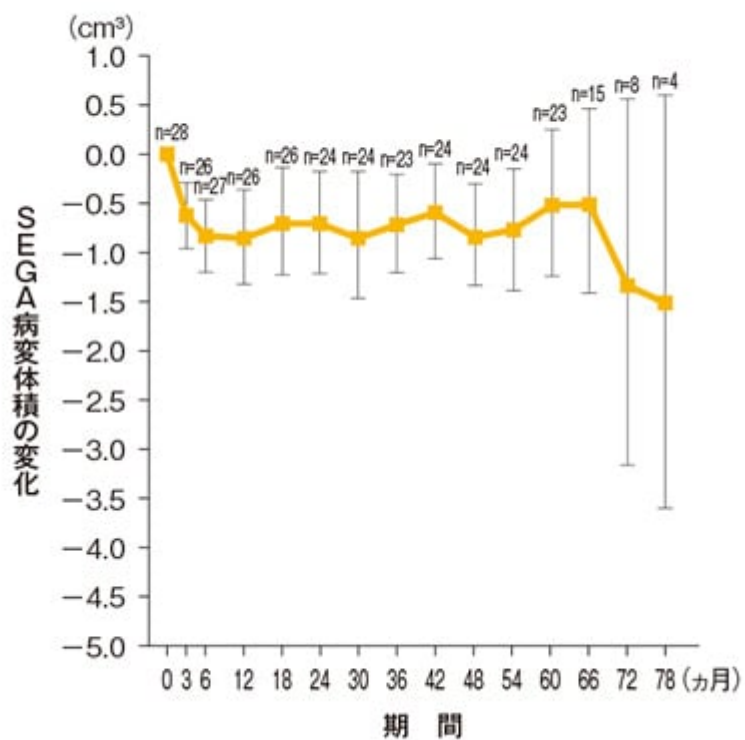
1 SEGA

SEGA  $n=28$   $1.74\text{cm}^3$   $0.49 - 14.23$   $n=27$   $0.93\text{cm}^3$   $0.31 - 7.98$  SEGA  $0.80\text{cm}^3$   $0.06 - 6.25$  Wilcoxon signed rank  $p < 0.001$   
 $n=23$  SEGA  $1.17\text{cm}^3$   $0.21 - 4.39$   $0.50\text{cm}^3$   $-0.74 - 9.84$  30% 92.9% 26/28 50% 82.1% 23/28

**SEGA**

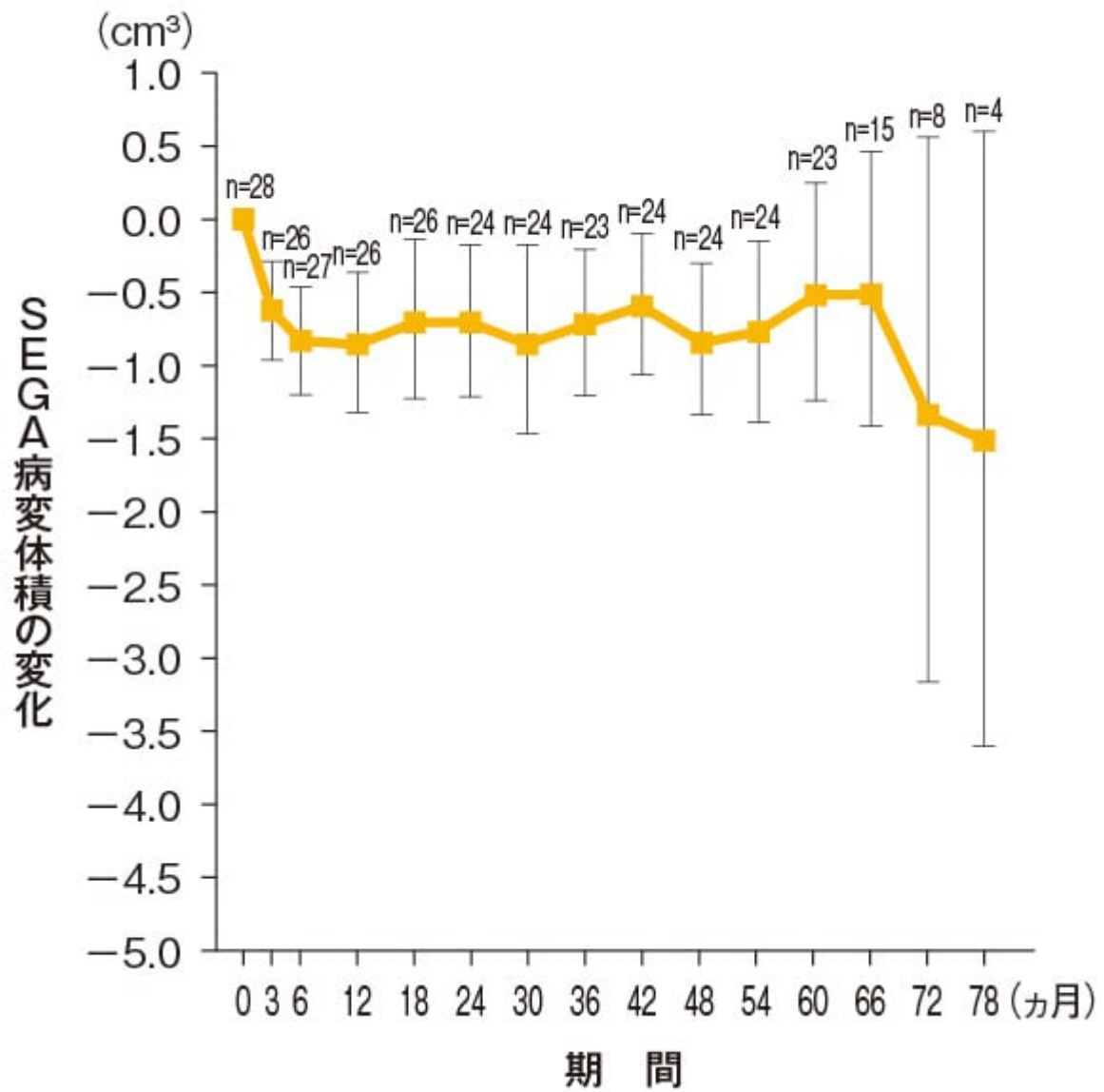
Image

## SEGA病変の体積変化 (海外データ)



Image

## SEGA病変の体積変化 (海外データ)

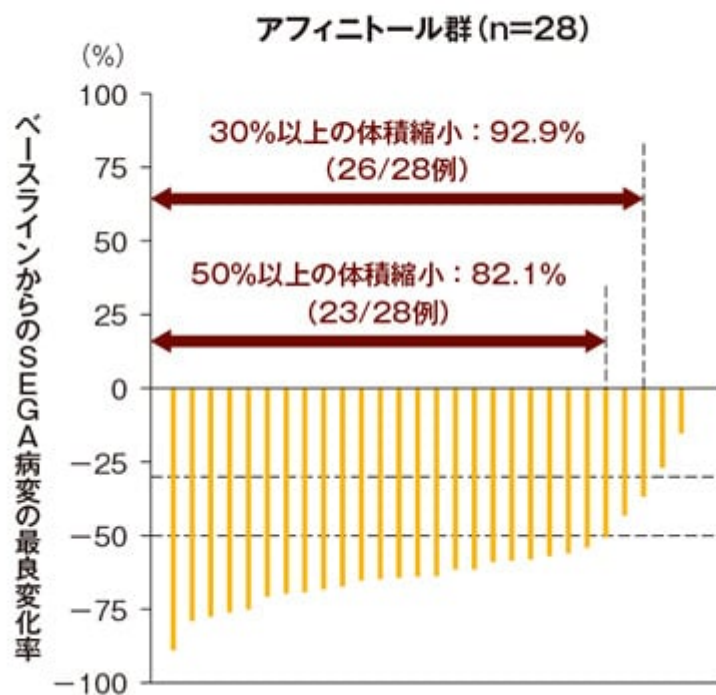


SEGA

Image

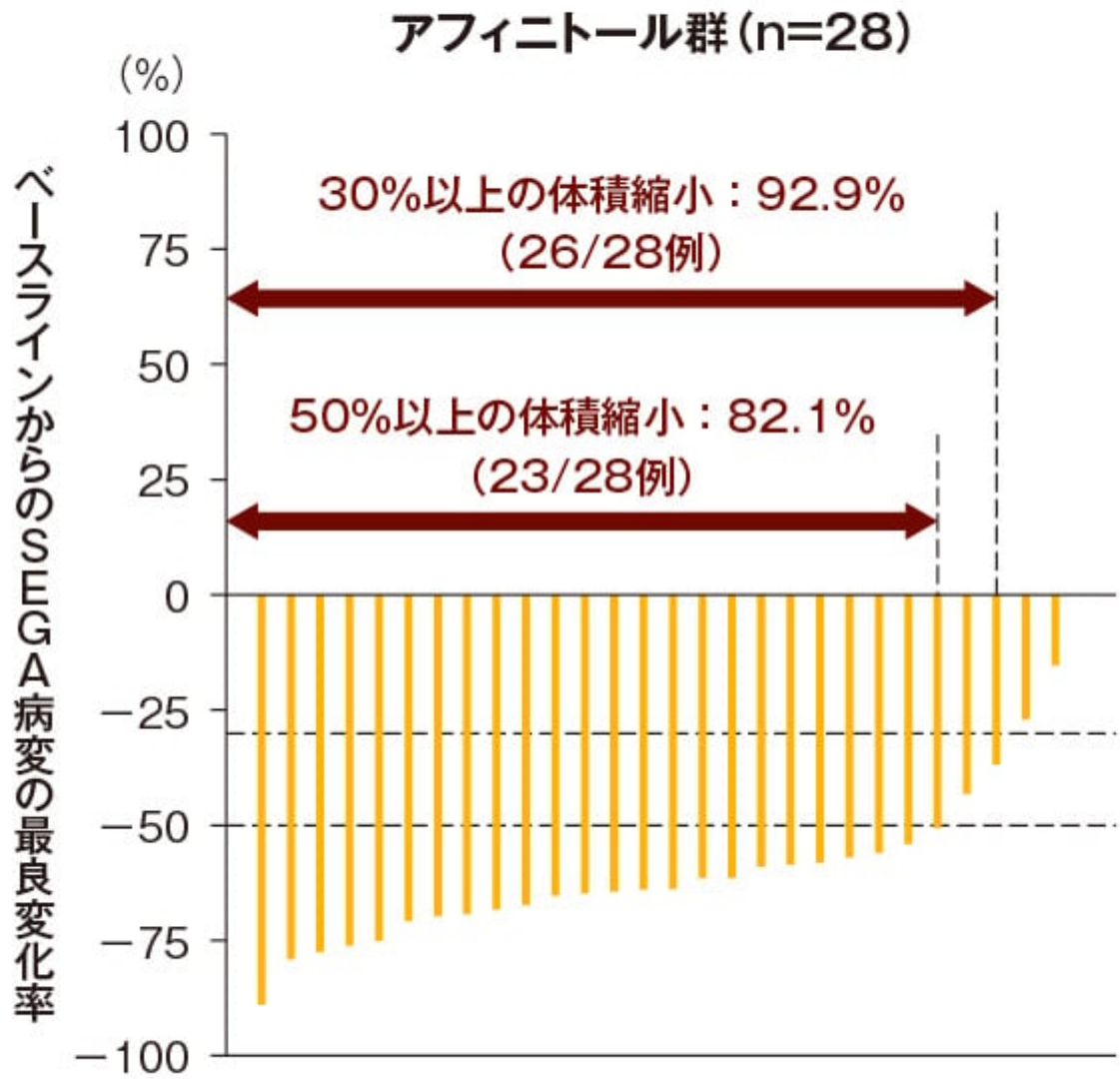


## SEGA病変の最良変化率（海外データ）



Image

SEGA病変の最良変化率（海外データ）



2

6 1 16 6 9 56.3  
 6 37.5 1 6.3  
 26.9 7/26 6 8.0 2/25 60 11.1  
 2/18

3

25 6 12 18 24 30  
 13/15 86.7 8/14 57.1 7/9 77.8 8/9 88.9 11/12 91.7  
 2/18

3 201112

4 QOL

quality of life in children with epilepsy QOLCE Sabaz et al. 2003 QOL FAS  
QOL  $\pm$  58.04 $\pm$ 14.34 3 63.76 $\pm$ 12.70 6 62.37 $\pm$ 14.47

5

24



