

MEDIA RELEASE • COMMUNIQUE AUX MEDIAS • MEDIENMITTEILUNG

2020年8月21日

報道関係各位

ノバルティス ファーマ株式会社

ノバルティス、サンドスタチン®皮下注用が公知申請により先天性高インスリン血症に伴う低血糖の治療薬として効能又は効果の追加の承認を取得

ノバルティス ファーマ株式会社（代表取締役社長：綱場一成）は、本日、効能追加の公知申請*1を行っていた「サンドスタチン®皮下注用 50 μ g、同皮下注用 100 μ g」（一般名：オクトレオチド酢酸塩）について、先天性高インスリン血症に伴う低血糖（他剤による治療で効果が不十分な場合）の効能又は効果、用法及び用量追加の承認を取得しました。

先天性高インスリン血症に伴う低血糖は、インスリン分泌過多により重度の低血糖症をきたす主に新生児・乳児期に発症する疾患です。ブドウ糖輸液、流動食注入のほか、ジアゾキシド内服等の内科的治療が行われますが、こうした治療に効果がない場合は、膵切除が行われることもあります。手術で95%以上の膵垂全摘を行った場合、術後に多くの患者が糖尿病を合併します。低血糖によりけいれんや意識障害を起こすだけでなく、神経後遺症を残し、発達遅滞やけいれん、脳性麻痺につながる可能性もある為、血糖値の管理が非常に重要な疾患です。日本小児内分泌学会からも開発要望が出され、強く治療薬の開発が望まれていました。

今回の効能又は効果の追加について、ノバルティス オンコロジー ジャパンのプレジデントであるブライアン グラッツデンは、次のように述べています。「『サンドスタチン®皮下注用』は、消化管ホルモン産生腫瘍に伴う諸症状の改善や、がん患者の緩和医療における消化管閉塞に伴う消化器症状の改善などに用いる治療薬として、多くの患者さんに投与されてきました。この度、重篤でコントロールが難しい先天性高インスリン血症に伴う低血糖の患者さんにも、治療の選択肢をご提供できることを非常に嬉しく思っています」

国内の年間発症者数は25～30人で、本剤の投与対象となるジアゾキシドによる治療で効果が不十分と判断される年間発症者数は8～10人とされています。海外で今回の追加効能で承認されている国・地域はありません。

「サンドスタチン®皮下注用」は、日本小児内分泌学会から開発要望を受け、厚労省の「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議*2」でノバルティスに対し開発が求められました。その後2020年2月に開催された薬事・食品衛生審議会医薬品第二部会において公知申請を行っても差し支えないと判断され、事前評価終了後、公知申請承認の前に保険適用が開始されていました。2020年3月11日に公知申請

を行い、本日 21 日に「先天性高インスリン血症に伴う低血糖（他剤による治療で効果が不十分な場合）」を適応症として承認されました。

*1 公知申請：医薬品（効能追加など）の承認申請において、当該医薬品の有効性や安全性が医学的に公知であるとして、臨床試験の全部または一部を新たに実施することなく承認申請を行うことが出来る制度

*2 医療上必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議：欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医薬品や適応について、医療上の必要性を評価するとともに、公知申請への該当性や、承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認すること等により、製薬企業による「未承認薬・適応外薬」の開発促進に資することを目的として設置された会議

ノバルティス ファーマ株式会社について

ノバルティス ファーマ株式会社は、スイス・バーゼル市に本拠を置く医薬品のグローバルリーディングカンパニー、ノバルティスの日本法人です。ノバルティスは、より充実したすこやかな毎日のために、これからの医薬品と医療の未来を描いています。ノバルティスは世界で約 11 万人の社員を擁しており、8 億人以上の患者さんに製品が届けられています。ノバルティスに関する詳細はホームページをご覧ください。<https://www.novartis.co.jp>

以上

<参考資料>

「サンドスタチン®皮下注用」の製品概要

製品名：

「サンドスタチン®皮下注用 50 μ g」

「サンドスタチン®皮下注用 100 μ g」

一般名：

オクトレオチド酢酸塩

効能又は効果*：

先天性高インスリン血症に伴う低血糖（他剤による治療で効果が不十分な場合）

用法及び用量*：

通常、オクトレオチドとして1日量5 μ g/kgを、3～4回に分けて皮下投与又は24時間持続皮下投与する。なお、患者の状態に応じて適宜増減するが、最大投与量は1日量25 μ g/kgまでとする

承認取得日：

2020年8月21日

製造販売：

ノバルティス ファーマ株式会社

*効能又は効果に関連する使用上の注意並びに用法及び用量に関連する使用上の注意は、添付文書をご覧ください。