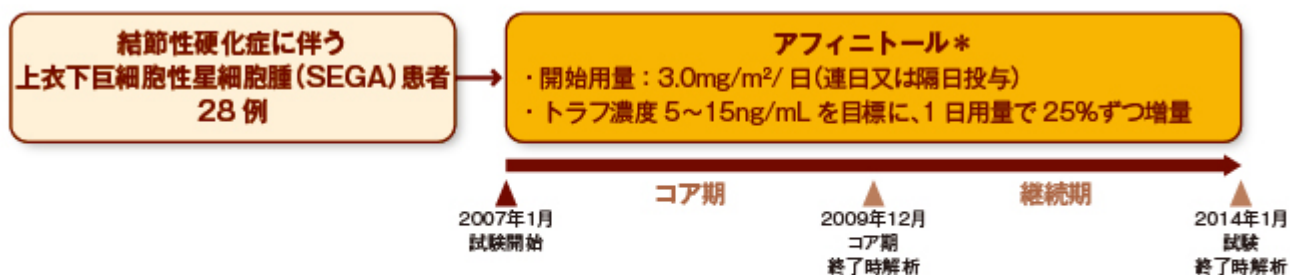


□ □ □ □

□□□□□□ □□□□□□□□□□□□□□□□
□□□□□□

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)。

SEGA Wilcoxon signed rank 2.5 LOCF
 SEGA 30 50 SEGA Waterfall plot
 6 24 24 sign test
 QOL QOLCE 16 QOL
 16 6

□ □ □ □ □ □ □ □ □ □

		アフィニートール投与 (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 ² 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* 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 前額プラーク	25 (89.3)
	3つ以上の白斑	24 (85.7)
	腎AML	22 (78.6)

結節性硬化症の診断基準として、2009年にGomez氏らによって提唱された修正Gomez基準が広く用いられている。この基準は、主要特性と副次的特性の2つに分類され、主要特性が2項目以上認められる被験者を結節性硬化症と診断する。

本研究では、2009年にGomez氏らによって提唱された修正Gomez基準を用いて、被験者の診断基準を満たしているかどうかを確認した。

SEGAは、結節性硬化症の主要特性の一つである。

SEGAは、結節性硬化症の主要特性の一つである。

Image

		アフィニートール投与 (n=28)
標的SEGA病変数 例数 (%)	1	15 (53.6)
	2	13 (46.4)
	≥3	0
同側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)
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
	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

		アフィニトール投与 (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)

201012

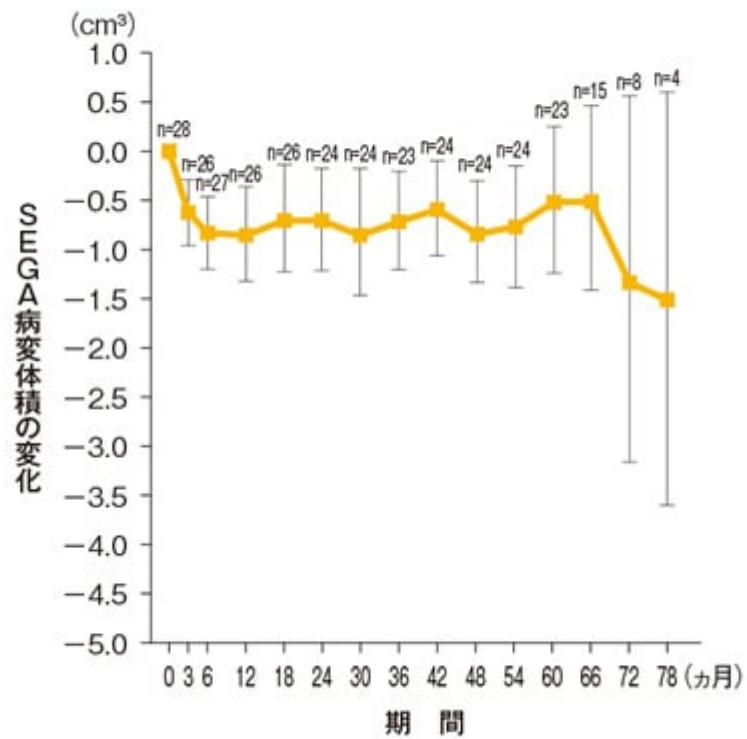
1 SEGA

SEGA $n=28$ 1.74cm^3 $0.49 - 14.23$ $n=27$ 0.93cm^3 $0.31 - 7.98$ 6 SEGA 0.80cm^3 $0.06 - 6.25$ Wilcoxon signed rank $p < 0.001$ $n=23$ SEGA 1.17cm^3 $0.21 - 4.39$ 30% 92.9% $26/28$ 50% 82.1% $23/28$

SEGA

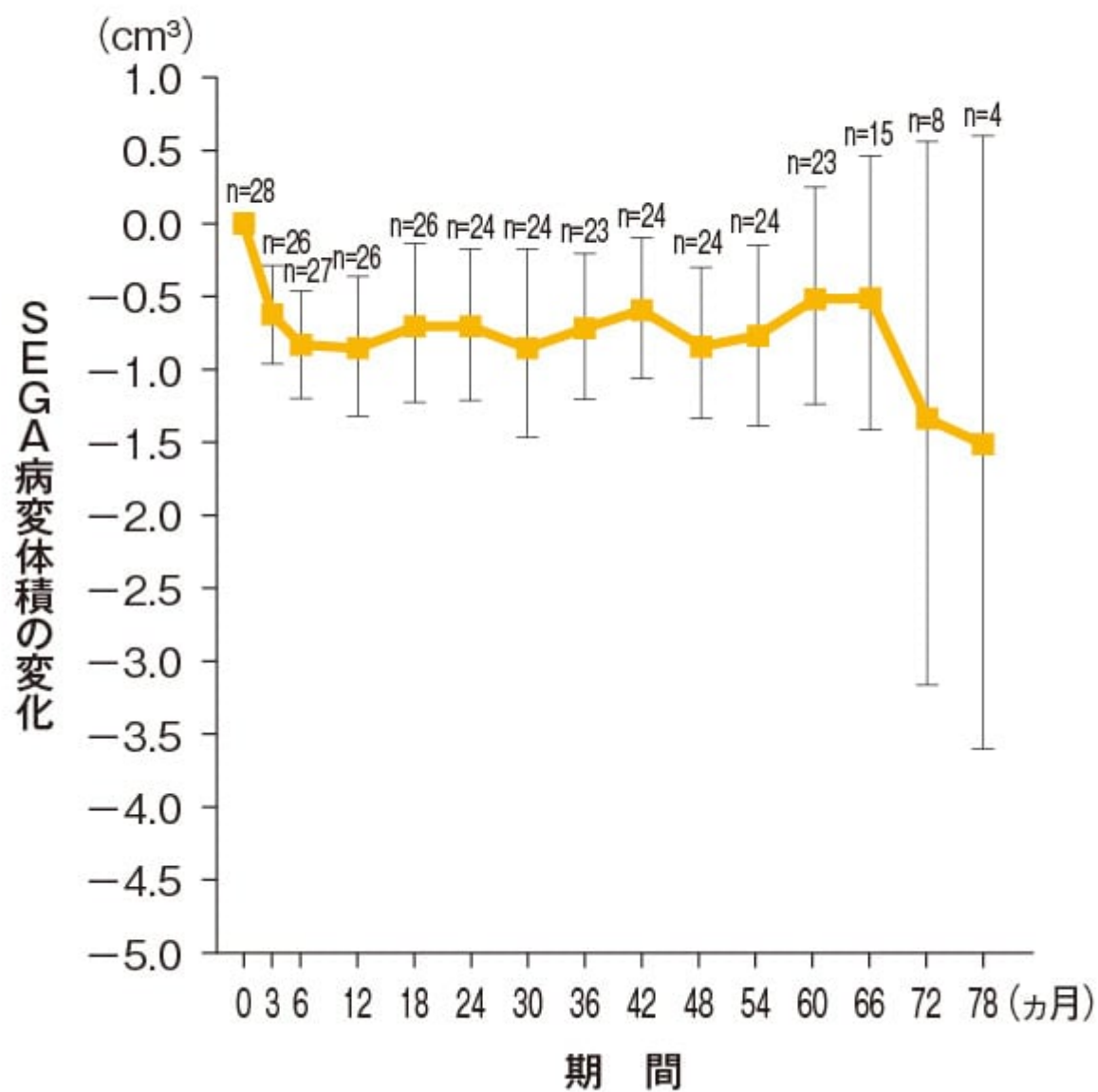
Image

SEGA病変の体積変化 (海外データ)



Image

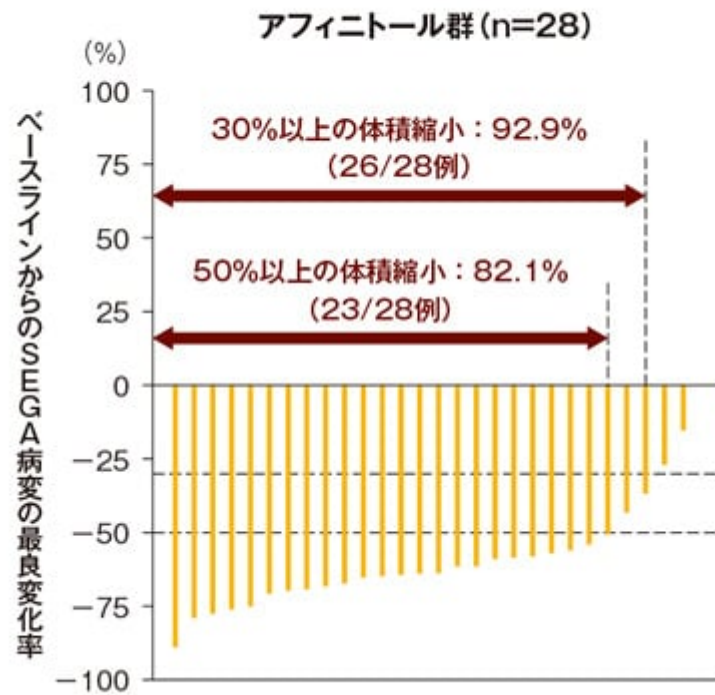
SEGA病変の体積変化（海外データ）



SEGA病変体積の変化

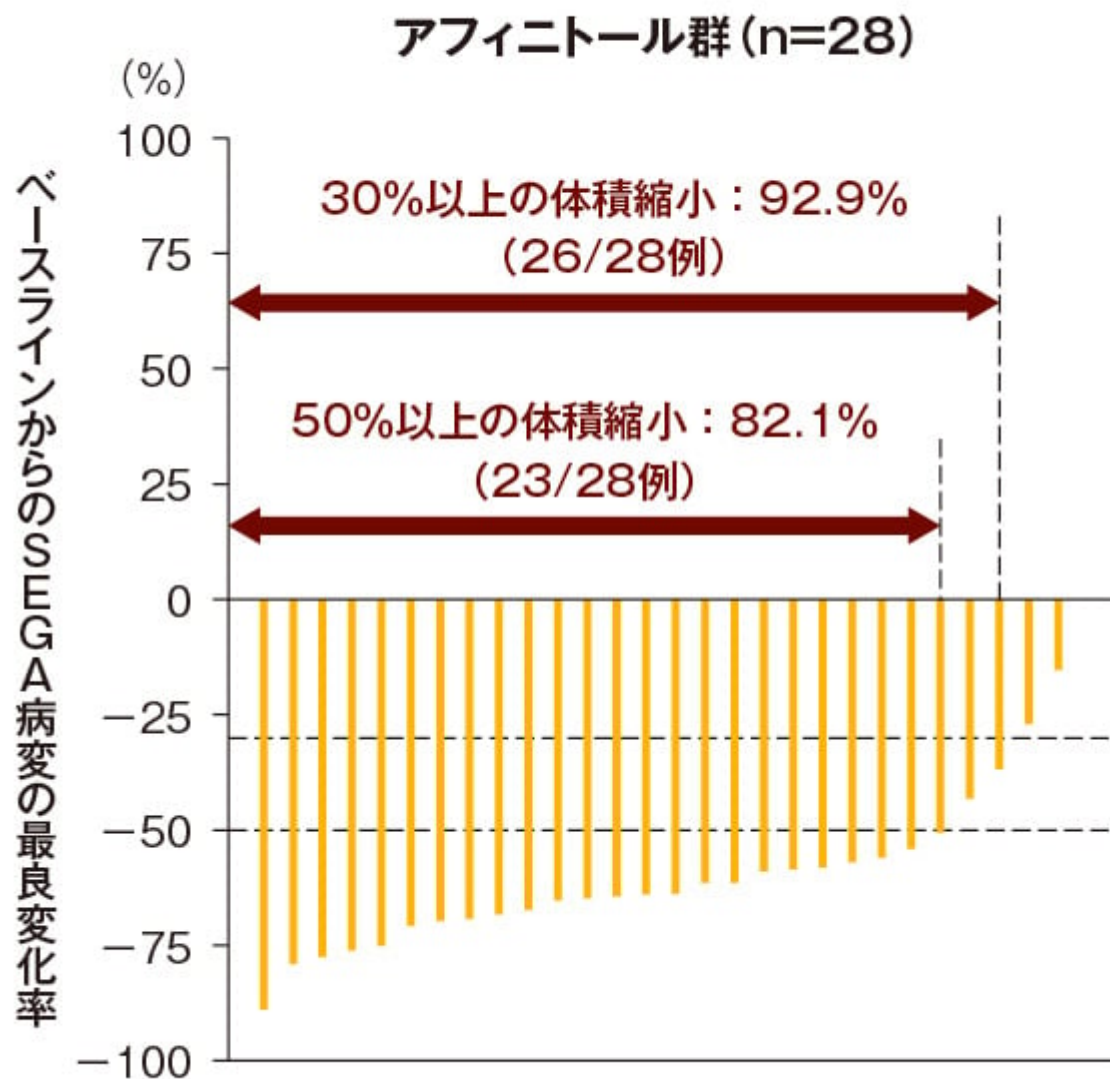
Image

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. 症例報告

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

3. 症例報告

症例25. 症例6. 12. 18. 24. 30. 86.7% 8/14 57.1% 7/9 77.8% 8/9 88.9% 11/12 91.7%
 症例2. 11.1% 2/18

