

「Lennox -Gastaut 症候群における rufinamideの短期有効性と安全性についての検討。」について

・研究の背景と目的

Lennox -Gastaut 症候群（LGS）は、小児てんかんの1～3%を占めるまれな症候群ですが、小児期に発症する最も重症なてんかん性脳症の一つです。強直発作、脱力発作、非定型欠神を主要とした多彩な発作型を示し、しばしば発作により転倒し外傷を伴います。発作頻度は多く、薬物治療の効果が低く、発達の遅れや認知障害を合併します。様々な治療方法が試みられていますが、LGS の長期経過は不良です。

rufinamide（RFN,イノベロン®）は LGS 対象の二重盲検試験で有効性が認められており、特に強直発作・脱力発作への有効性は高く、欧米で稀少疾患治療薬として認可されています。本邦においても LGS 対象の二重盲検試験で有効性が認められ、特に強直発作・脱力発作への有効性は高く評価され、H25 年 LGS に対する稀少疾患治療薬として承認されました。

当院通院中の LGS 患者に RFN を投与し、RFN の短期間の有効性と安全性の検討することを目的とした研究です。

・研究の意義

RFN の短期有効性と安全性が確認できることにより、今後 LGS 患者に RFN を有効かつ安全に使用することができます。有効性と安全性が確立されることにより、LGS 患者の長期予後の改善につながると考えられます。

・対象

平成 25 年 7 月～平成 26 年 1 月に RFN を追加投与された LGS 症例です。

・方法

平成 25 年 7 月～平成 26 年 1 月に RFN を追加投与された LGS 全症例において、RFN 開始 3 カ月時点の有効性と安全性を診療録より後方視的に検討します。

・同意について

個人情報とは特定されない既存の情報を用いた後方視的研究のため、同意書は取得しませんが、該当されると思われる症例で、意思表示によって研究の参加を撤回することは可能です。

・個人情報に関する配慮

患者氏名などの個人臨床情報が特定できる情報は一切記載しません。

研究の利用を撤回する場合、その連絡先

北海道立子ども総合医療・療育センター 神経内科 高山留美子

住所：〒006-0041 北海道札幌市手稲区金山 1 条 1 丁目 240 番 6

電話：011-691-5696（内線 6076） FAX：011-611-1000