

要約表

(様式)

1. 小児医療を行うにあたり必要と考えられる処方等に関する概要 ※現在の国内承認内容と異なる部分には下線を付して下さい。	販売名 (一般名)	ノイキノン (ユビデカレノン)
	関係企業	エーザイ
	剤型・規格	顆粒 1% 錠: 5mg、10mg 糖衣錠: 10mg カプセル: 5mg
	効能・効果	基礎治療施行中の軽度・中等度のうつ血性心不全症状 <u>①ミトコンドリア脳筋症を含むミトコンドリア代謝障害。</u>
	用法・用量	内服: 1日 5-100mg. <u>①に対しては 1日 30-210mg。</u>
	対象年齢	
	その他	
	別添1の類型	<u>①ミトコンドリア脳筋症を含むミトコンドリア代謝障害の適応については2)(ア)①、および3)(ア)。</u>

2. 欧米での承認状況	承認取得国及び承認年月日	イタリア
	販売名	Caomet
	関係企業名	Astra
	剤型・規格	50mg 錠
	効能・効果	Coenzyme Q10 欠乏症、急性・慢性心疾患における心筋代謝異常
	用法・用量	1日1回50mg, 食後経口投与
	対象年齢	
	その他	

3. 有用性を示すエビデンスについて	別添2 (ア) ①の該当性について	①ミトコンドリア脳筋症を含むミトコンドリア代謝障害を適応とした国はありません。
	別添2 (ア) ②の該当性について	教科書として, Mitochondrial DNA in Human Pathology. (DiMauro S, Wallace DC, eds) Raven Press, New York 1993.
	現時点まで得られているエビデンスについて <u>ミトコンドリア脳筋症を含むミトコンドリア代謝障害は疾患患者の症状が多彩です。病期によって治療効果が異なるなどの理由から現在まで十分なコントロール Study はなされていませんが、Kearns-Sayre 症候群、MELAS など数多くの症例報告がなされており、その結果は、教科書、論文に記載されています。</u> <u>ミトコンドリア脳筋症を含むミトコンドリア代謝障害は重篤で生命予後不良の現在治療法が確立していない疾患である点、ノイキノンの安全性が確立している点を考えた場合、治療薬に加えるべきと考えられます。</u>	
根拠となる論文・試験については、別表に記載願います。		

4. (1) 適応疾病 の重篤度 等	別添2 (イ) ①の該当性 について	該当する
	別添2 (イ) ②の該当性 について	該当する
	別添2 (イ) ③の該当性 について	
	評価理由 <u>ミトコンドリア脳筋症を含むミトコンドリア代謝障害</u> は症状が多彩ですが MELAS(mitochondrial encephalopathy, lactic acidosis and stroke-like episodes), Leigh 脳症、KSS (Karns-Sayre syndrome) , MERRF(Myoclonus epilepsy with ragged red fibers)など重篤で生命に重大な影響がある疾患を含む。これにより(イ)の①に該当します。 <u>ミトコンドリア脳筋症を含むミトコンドリア代謝障害</u> は症状が多彩ですが、その多くの症状の進行は不可逆でありかつ日常生活に著しい影響を及ぼします。これにより(イ)の②に該当します。	
根拠となる論文・試験については、別表に記載願います。		

4. (2) 小児科領域における医療上の有用性	別添2 (ウ) ①の該当性について	該当する
	別添2 (ウ) ②の該当性について	
	別添2 (ウ) ③の該当性について	
	評価理由 ミトコンドリア脳筋症を含むミトコンドリア代謝障害は、現在治療法・予防法は確立していない。従って、(ウ)の①に該当します。 根拠となる論文・試験については、別表に記載願います。	
5. 優先度	有効成分中の 11 位	

6. 参考 情報	ノイキノンはミトコンドリア内膜に存在し、電子伝達系酵素の複合体 I, II から電子を受け取り複合体 III に電子を受け渡す。また、ノイキノンの還元型であるユビキノールは活性酸素を除去する働きがある。
	根拠となる論文・試験については、別表に記載願います。

7. 連絡 先	貴学会名、御担当者、御所属、御連絡先（住所、電話番号、FAX 番号、E-mail アドレス）等 小児神経学会、中野和俊、東京女子医科大学 小児科、 （〒162-8666 東京都新宿区河田町8-1、TEL: 03-3353-8111, FAX: 03-5269-7338, E-mail: knakano@ped.twmu.ac.jp、Second: knakano2005@yahoo.co.jp）
--------------------	--