

学会名：日本小児アレルギー学会

医薬品名：メプチン吸入液・ユニット

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 日本小児アレルギー学会 河野陽一 千葉大学大学院医学研究院小児病態学 260-8670 千葉市中央区亥鼻1-8-1 電話：043-226-2144 FAX：043-226-2145 e-mail: kohnoy@faculty.chiba-u.jp
--------	---

塩酸プロカテロール参考文献一覽

別表

番号	学会名	販売名	一般名	文献題名	著者名	文献発表 先、発表年	参考	文献の概要	学会見解
1	日本小 児アレルギー 学会	メプチン キッドエ ア—(注)	塩酸プロカテ ロール	小児気管支喘息に対する小 児用procatamol吸入薬の薬効 評価-salbutamol吸入薬を対 照薬とした全国多施設共同の 二重盲検比較試験成績—	三河春樹他	医学のあゆ み 138(4): 297-313, 1986	○	8歳～15歳の小児気管支喘息患者について、塩酸プロカテロールの有用性を硫酸サ ルブタモールを対照に検討したもの(塩酸 プロカテロール群83例、硫酸サルブタモ ール群79例)。評価項目としては、臨床所見・ 随伴症状及び肺機能検査で確認している。 その結果、塩酸プロカテロール群の改善率 は63.9%、硫酸サルブタモール群の改善率 は57.0%であり、両群間に有意差は認めら れなかった。	
2	日本小 児アレルギー 学会	メプチン 吸入液	塩酸プロカテ ロール	小児気管支喘息患者における プロカテロール吸入液の臨床 評価—多施設共同研究—	荒井康男他	Progress i n Medicin e 5:3015- 3023. 1985	○	7歳～15歳の気管支喘息患者を対象に用 量検討を多施設共同で実施したもの。小児 における至適用量は10～30μgと考えられ た。	
3	日本小 児アレルギー 学会	メプチン キッドエ ア—(注)	塩酸プロカテ ロール	低年齢児の気管支喘息に対 する小児用Procatamol 吸入 剤の有用性の検討	根本紀夫他	Progress i n Medicin e 5:3015- 3023. 1985	○	4歳～7歳の低年齢気管支喘息患者を対象 に吸入前と比較し吸入後120分までの臨床 所見・肺機能、心循環機能の推移からそ の有用性について検討したもの。改善率 は28.9%・FEV1.0、V50、V25変化率は吸 入後120分まで有意な改善・新循環機能 に対する影響は軽微・4～5歳群(22例)と 6～7歳群(16例)の肺機能の改善は4～5 歳群が上回っていた。	
4									
5									

4 (注)噴射剤として特定フロンを使用した製剤。現在は代替フロンを噴射剤として使用した代替製剤「メプチンキッドエア—5μg」を販売してい  
5 る。

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)	オノンドライシロップ (プラニルカスト水和物)
	関係企業	小野薬品工業株式会社
	剤形・規格	ドライシロップ プラニルカスト水和物・100mg(1g 中)
	効能・効果	気管支喘息
	用法・用量	通常、小児にはプラニルカスト水和物として1日量7mg/kg(ドライシロップとして70mg/kg)を朝食後および夕食後の2回に分け、用時懸濁して経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。1日最高用量はプラニルカスト水和物として10mg/kg(ドライシロップとして100mg/kg)とする。ただし、プラニルカスト水和物として成人の通常の用量である450mg/kg(ドライシロップとして4.5g/日)を越えないこと。
	対象年齢	小児 <u>添付文書から「1歳未満の小児での使用経験がなく、低出生体重児、新生児、乳児に対する安全性は確立していない」を削除</u>
	その他	
別添1の類型	4)	

2. 欧米での承認状況	承認取得国及び承認年月日	承認されていない ＜参考＞ 韓国(2000年7月)、南米：メキシコ(2001年6月)ほか12カ国
	販売名	東亜オノンドライシロップ（韓国） アズレア顆粒（南米）
	関係企業名	東亜製薬（韓国） Schering-Plough Corporation（南米）
	剤形・規格	ドライシロップ
	効能・効果	気管支喘息
	用法・用量	通常、小児にはプラシルカスト水和物として1日量7mg/kg(ドライシロップとして70mg/kg)を朝食後および夕食後の2回に分け、用時懸濁して経口投与する。
	対象年齢	なし
	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	アメリカ、イギリス、ドイツ、フランスでは承認されていない。
	別添2 (ア) ②の該当性について	1才未満の乳児に関してはこのレベルまで達していない。
<p>現時点まで得られているエビデンスについて</p> <p>小児を対象とした市販後調査（使用成績調査・特別調査）1421例において、1才未満の乳児に使用されていた症例は24例であった。</p> <p>（市販後調査結果の内訳）</p> <p>①使用成績調査で安全性解析対象症例991例中1才未満の乳児に使用された症例は14例であった。有効性解析対象症例での乳児の改善率は83.33%であり全体の改善率87.89%と差は認められなかった。</p> <p>副作用発現率： 0.00% (0/14例) [全体： 1.92% (19/991例)]  改善率： 83.33% (10/12例) [全体： 87.89% (824/950例)]</p> <p>②長期使用に関する特別調査で安全性解析対象症例430例中1才未満の乳児に使用された症例は10例であった。有効性解析対象症例での乳児の改善率は100.00%であり全体の改善率81.23%と差は認められなかった。</p> <p>副作用発現率： 10.00% (1/10例) [全体： 3.02% (13/430例)]  改善率： 100.00% (9/9例) [全体： 81.23% (329/405例)]</p> <p>これらの調査で1才未満の乳児に発現した副作用は急性白血病 NOS の1例であった。この副作用は投与開始466日目に発現したが、担当医師のコメントは「おそらく自然発生と考えられるが、本剤も含めて薬剤による要因の可能性も100%は否定出来ない」であった。なお、本症例の転帰は「軽快」であった。因みに、「急性白血病」の副作用については、文献・学会からの情報もふくめてカプセル剤の発売開始から現在までにそのような副作用報告はない。</p> <p>文献からの情報は別表の通り</p>		
<p>根拠となる論文・試験については、別表に記載願います。</p>		

4. (1) 適応疾病 の重篤度 等	別添2 (イ) ①の該当性 について	
	別添2 (イ) ②の該当性 について	
	別添2 (イ) ③の該当性 について	該当有り
	<p>評価理由</p> <p>喘息は慢性疾患であり、その発作のコントロールは、患者・家族の QOL に著しい影響を及ぼす。</p>	
<p>根拠となる論文・試験については、別表に記載願います。</p>		

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	
	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	該当有り
	<p>評価理由</p> <p>本薬剤は本邦で開発され、世界で初めて臨床応用されたロイコトリエン受容体拮抗薬である。本邦で実際に広く使用されており、適応年齢の適正化は臨床現場への影響が大きいと考えられる。</p>	
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	4 有効成分中の 3 位	

学会名：日本小児アレルギー学会

医薬品名：オノンドライシロップ

6. 参考  
情報

根拠となる論文・試験については、別表に記載願います。



学会名：日本小児アレルギー学会

医薬品名：オノンドライシロップ

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 日本小児アレルギー学会 河野陽一 千葉大学大学院医学研究院小児病態学 260-8670 千葉市中央区亥鼻1-8-1 電話：043-226-2144 FAX：043-226-2145 e-mail: kohnoy@faculty.chiba-u.jp
--------	---

番号	学会名	販売名	一般名	文献題名	著者名	文献発表先、 発表年	参考	文献の概要	学会見解
1	日本小児 アレル ギー学会	オノンドラ イシロップ	プラナルカスト 水和物	乳児気管支喘息におけるオノ ンドライシロップの効果	木俣 肇	新薬と臨 床,52(2): 650,2003		1歳未満の乳児10例に2～22週間投与し、投与2週後に6例、4週後 で2例で発作が無くなり、オノンドライシロップを中止しても発作は 見られていない。10例とも、検査し得た限りでは、臨床症状、血球 数、肝機能、腎機能、尿検査値等に異常はみられなかった。	
2	日本小児 アレル ギー学会	オノンドラ イシロップ	プラナルカスト 水和物	5歳未満の乳幼児喘息に対す るプラナルカストドライシロップ の長期投与(3～20カ月)の有 効性と安全性の検討	林田 道昭	小児科臨 床,56(3): 313,2003		5歳未満の乳幼児喘息42例(8カ月～4歳5カ月)に対し、オノンドライ シロップの長期投与(3～20カ月)の有効性と安全性を検討した。投 与1カ月頃より喘息発作点数が減少し、中等度改善以上は3～12カ 月の間で62.7～70.3%であった。副作用は見られなかった。	
3	日本小児 アレル ギー学会	オノンドラ イシロップ	プラナルカスト 水和物	小児喘息133名のLT-R拮抗 薬の効果	井上 美紀 ほか	臨床小児医 学,49(5/6): 109,2001		小児気管支喘息患者133名(0歳から12歳)にオノンンを投与し重症度 の変化を見た。重症度が減った物のみを有効例と厳しく取ると、全 体の有効率は2～9カ月で41.4%であるが10～12カ月では70.8%と 内服期間の長いほど有効率が増加している。	
4	日本小児 アレル ギー学会	オノンドラ イシロップ	プラナルカスト 水和物	乳児喘息に対するプラナルカ ストの臨床効果について	吉原 重美 ほか	小児科診 療,10: 1701,2002		乳児喘息患児10名(平均月例13.4±13.3カ月)にオノンドライシロ ップを4週間投与し、その前後の喘息発作点数を測定した。投与前 5.1±0.1、投与後4.6±0.1、投与後4週2.2±0.1であり、有意な発 作点数の減少を認めた。また、1カ月以上フマル酸ケトチラフェンシ ロップの内服をしている中等症の乳児喘息患児5名(平均月例 12.6±1.3カ月)においてオノンドライシロップに切り替えて4週間投 与し変更前後の喘息発作点数を比較検討した。変更投与前 5.42±0.20であったが、変更投与後1週で5.22±0.17、2週で 4.69±0.30、3週で3.11±0.39、4週で2.72±0.31となり、2週後より喘 息発作点数の有意な減少を認めた。今回プラナルカストを投与し た15例において、とくに問題となる副作用はなく、安全性も確認し た。	
5	日本小児 アレル ギー学会	オノンドラ イシロップ	プラナルカスト 水和物	小児気管支喘息に対するオノ ンドライシロップ(プラナルカス ト水和物)の有用性一使用成 績調査一	上安 功明 ほか	小児科臨 床,57(11): 2359,2004		オノンドライシロップ使用成績調査では生後6カ月3例、7カ月2例、8 カ月1例、9カ月3例、10カ月1例、11カ月4例の14例の症例を収集 し、副作用の発現した症例はなく改善率は83.33%(10/12)であっ た。(先の概要に記載されている情報)	
6	日本小児 アレル ギー学会	オノンドラ イシロップ	プラナルカスト 水和物	乳児から高齢者までの気管支 喘息に対するオノンンの効果	木俣 肇	新薬と臨 床,53(3): 320,2004		6カ月の男児にオノンドライシロップ、テオドールドライシロップ、ア トック、ムコダインドライシロップで投与を開始し、投与開始2週後よ り4週後までオノン単独投与で経過観察したが、喘息発作は消失し た。本症例のような体重的軽い乳児に対して、きめ細かく調節可 能なオノンドライシロップは有用と考えられる。	

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)	アイピーディドライシロップ (トシル酸スプラタスト)
	関係企業	大鵬薬品工業株式会社
	剤形・規格	ドライシロップ 1 g 中にトシル酸スプラタスト 50mg を含有
	効能・効果	気管支喘息、 <u>アトピー性皮膚炎</u> 、 <u>食物アレルギー</u>
	用法・用量	通常、小児にはトシル酸スプラタストとして1回 3mg/kg を1日2回朝食後及び夕食後に、用時溶解して経口投与する。
	対象年齢	<u>生後6ヶ月以上</u>
	その他	
別添1の類型	2) -ア) -②	

学会名：日本小児アレルギー学会

医薬品名：アイピーディドライシロップ

2. 欧米での承認状況	承認取得国及び承認年月日	該当なし
	販売名	
	関係企業名	
	剤形・規格	
	効能・効果	
	用法・用量	
	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	該当なし
	別添2 (ア) ②の該当性について	該当なし
	現時点まで得られているエビデンスについて	
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	該当なし
	別添2 (イ) ②の該当性 について	該当なし
	別添2 (イ) ③の該当性 について	気管支喘息（乳児喘息）
	<p>評価理由</p> <p>小児気管支喘息は、発作性に笛的喘鳴を伴う呼吸困難を繰り返す疾病であり発生した呼吸困難は自然ないし治療により軽快、治癒すると定義されており日常生活に著しい影響を及ぼす疾患と考えられる。</p> <p>喘息の発症年齢のピークは1～2歳までにあり、小児喘息のより良い予後確立するためには早期診断、早期治療による早期介入（early intervention）が重要とされ、乳児喘息の適切な対応は小児喘息の中でも重要な位置を占める。</p>	
<p>根拠となる論文・試験については、別表に記載願います。</p> <p>別表1</p>		

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	該当なし
	別添2 (ウ) ②の該当性について	該当なし
	別添2 (ウ) ③の該当性について	該当あり
<p>評価理由</p> <p>乳児喘息における薬物の使用に関しては、テオフィリンクリアランスの問題、吸入療法における吸入効率の問題など、乳児に用い得る薬物が限られるという問題点がある。その中で抗アレルギー薬は重要な選択枝の1つである。</p> <p>アイピーディドライシロップの長期調査（1年）の結果、添付文書上安全性が確立されていない3歳未満症例が761例中156例（20.5%）あり、臨床現場における3歳未満症例使用への必要性が見受けられる。また、副作用に関しても156中2例（発疹、好酸球増加）認められたがいずれも軽微であり、臨床試験及び長期調査の3歳以上の症例と比較しても安全性上問題はなかった。</p> <p>また、最近では食物アレルギーを合併したアトピー性皮膚炎患者に対しH1拮抗薬に比べ有意に喘息の発症を抑制する成績も報告され、early intervention という点からも3歳未満症例に対するアイピードライシロップの重要性が増してきた。</p>		
<p>根拠となる論文・試験については、別表に記載願います。</p> <p>別表2、別表3</p>		
5. 優先度	4 有効成分中の	4 位

6. 参考 情報	<p>アイピーディドライシロップの再審査申請時（平成17年9月19日）に、添付文書の6. 小児等への投与の項で乳児の部分の記載を削除した改訂案を当局に提出している。</p> <p>（現行） 低出生体重児、新生児又は乳児（3歳未満）に対する安全性は確立していない。[低出生体重児、新生児は使用経験がない。乳児は使用経験が少ない。]</p> <p>（改訂案） 低出生体重児又は新生児に対する安全性は確立していない。[低出生体重児、新生児は使用経験がない。]</p> <p>根拠となる論文・試験については、<span style="border: 1px solid black;">別表</span>に記載願います。</p>
-------------	--



学会名：日本小児アレルギー学会

医薬品名：アイピーディドライシロップ

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 日本小児アレルギー学会 河野陽一 千葉大学大学院医学研究院小児病態学 260-8670 千葉市中央区亥鼻1-8-1 電話：043-226-2144 FAX：043-226-2145 e-mail: kohnoy@faculty.chiba-u.jp
--------	---

番号	学会名	販売名	一般名	文献題名	著者名	文献発表先、発表年	参考	文献の概要	学会見解
1	小児アレルギー学会	アイピー デイドライ シロップ	トシル酸 スブラタ スト	小児気管支喘息の定義 (P10) 乳児喘息の特徴 と課題(P111)	森川昭廣 他	小児気管支喘息治 療・管理ガイドライン 2005		小児気管支喘息の定義、重篤性、乳 児喘息の特徴と問題点、early interventionの重要性について記載	
2	小児アレルギー学会	アイピー デイドライ シロップ	トシル酸 スブラタ スト	乳児喘息の長期管理薬 (P126)	森川昭廣 他	小児気管支喘息治 療・管理ガイドライン 2005		乳児喘息の長期管理として使用する 薬剤の問題点について記載	
3	小児アレルギー学会	アイピー デイドライ シロップ	トシル酸 スブラタ スト	Early Intervention by Th-2 Type Cytokine Inhibitor in Pediatric Asthma	Shigemi Yoshihara	International Proceedings The 6th Asia Pacific Congress of Allergology and Clinical Immunology 2004		食物アレルギーを伴うアトピー性皮 膚炎患者29名に対し、初回喘鳴及 び初回入院をprimary endpointとし てH1拮抗薬(HI群)とトシル酸ス ブラタスト(TS群)の比較研究を実施 した。平均発症年齢はTS群128日、 HI群113日、発症から投薬までの平 均期間はTS群340日、HI群294日 であった。結果はTS群がHI群に比較し て有意に投薬から初回喘鳴及び初回 入院までの期間が長く、TS群はHI群 に比較して喘息の発症を抑えた。	

## 先天代謝異常症関連領域における適応外使用医薬品および国内未承認医薬品の プライオリティリストの策定

分担研究者 日本先天代謝異常学会 大浦 敏博 東北大学大学院小児病態学分野

**研究要旨** 先天代謝異常症領域に必要な薬剤について、I. 小児薬物療法根拠情報収集事業プライオリティリスト、II. 未承認薬使用問題検討会議候補薬プライオリティリスト、III. 試薬の転用もしくは施設で化学合成している医薬品の3群に分けて検討した。I群ではエルカルチンが最優先の薬剤であり、以下ビオプテン顆粒、ビオチン、フラジールの順であった。アルギ U に関してはわが国で初めて明らかにされた効能、効果であり、既に医師主導型治験が開始されたので別に記載した。II群では NTBC、システアミン、ベタインを国内承認に向けての優先薬品とした。この3剤はいずれも欧米では承認市販され標準的治療法として確立している。また、欧米で承認申請中であるが重要な酵素補充療法製剤である idursulfase（ムコ多糖症 II 型の治療薬）、aglucosidase alfa（ボンベ病の治療薬）も優先候補薬としてリストに掲載した。III群に関しては現時点で使用されている薬剤を全てリストアップするにとどめた。

### 研究協力者

井田 博幸 東京慈恵会医科大学小児科  
奥山 虎之 国立成育医療センター遺伝診療科  
古賀 靖敏 久留米大学小児科  
清水 教一 東邦大学医学部第二小児科  
高柳 正樹 千葉県こども病院医療局長

### A. 研究目的

近年の薬物療法の進歩により種々の代謝異常症治療薬が開発され、生命予後の改善のみならず、QOL の向上に寄与するようになった。特に酵素補充療法は根本治療を目指す画期的な治療法であることが明らかにされている。しかし先天代謝異常症は希少疾患であり、既に国内で市販された薬剤の適応拡大や、海外で承認された薬剤の国内治験実施も困難であることが多く、開発が進まないのが現状である。そのため、医師は保護者の同意、学内倫理委員会の承認を得て、研究費などを捻出して化学試薬を購入し患者に使用しているという現状がある。本研究では昨年度に引き続き薬物治療上必要であるが適応のない薬剤、わが国未承認で市販されていない薬剤、試薬を用いている薬剤などをリストアップ、整理しその現状を明らかにする。さらに適応承認、国内市販に向けてエビデンスを整理し、関係機関へ働きかける基礎資料を作成する。

### B. 研究方法

昨年度日本先天代謝異常学会評議員を対象に行ったアンケート調査の結果を元に、小児薬物療法根拠情報収集事業の対象薬剤および未承認薬使用問題検討会議の候補薬を整理し、プライオリティリストを改訂した。また、実験試薬を転用して用いている薬剤についてもリストアップを行った。

### C. 研究結果

#### I. 小児薬物療法根拠情報収集事業用プライオリティリストの作成

##### 1. エルカルチン錠（塩化レボカルニチン）

販売：大塚製薬

適応：プロピオン酸血症、メチルマロン酸血症におけるレボカルニチン欠乏の改善。

適応拡大：原発性（一次性）カルニチン欠乏症。上記2疾患以外の二次性カルニチン欠乏症。

用量増量：現在の 30-60mg/kg/日から 150mg/kg/日まで増量。

剤型追加：急性期における経静脈的投与のための注射剤。

原発性カルニチン欠乏症に関しては本剤の大量投与が唯一の治療法であり、もし投与されなければ急

性脳症などを併発し予後不良である。また、二次性カルニチン欠乏症は適応2疾患以外にもイソ吉草酸血症、マルチプルカルボキシラーゼ欠損症、グルタル酸血症1型、2型、HMG CoAリアーゼ欠損症、3-メチルクロトニル CoA カルボキシラーゼ欠損症、脂肪酸β酸化障害、薬剤性低カルニチン血症等々種々の疾患で生ずることが知られており、適応拡大が必要である。また、有機酸、脂肪酸代謝障害の急性期には大量のカルニチン投与により有害なアシル CoA 化合物が体外に排泄され、アシドーシスの改善が期待される。急性期には経口薬ではなく静注薬が必要となり、剤型の拡大も必要である。以上挙げた治療法については既に代表的な小児科教科書である Nelson の教科書 (17 版) にも標準的治療として掲載されている。小児神経学会との共同提出である。

意義：今後タンデムマス質量分析計を用いた新生児スクリーニングの普及により多くの有機酸、脂肪酸代謝異常症の発見が予想されるため、エルカルチンの適応拡大は急務である。

## 2. ビオブテン顆粒 (塩酸サブプロブテリン)

販売：第一アスピオファーマ

適応：ジヒドロビオブテリン合成酵素欠損、ジヒドロブテリジン還元酵素欠損に基づく高フェニルアラニン血症 (異型高フェニルアラニン血症) における血清フェニルアラニン値の低下。

適応拡大：テトラヒドロビオブテリン (BH4) 反応性フェニルアラニン水酸化酵素 (PAH) 欠損症における血清フェニルアラニン値の低下。

わが国においてのみ承認されている医薬品である。海外では現在治験実施中。その効果は N Engl J Med 2002;347:2122-32 に報告されている。Nelson の教科書 (17 版) にも新しい治療として紹介されている。学会から厚生労働大臣宛てに平成 16 年 7 月 1 日付けで要望書を提出した。

意義：わが国で世界に先駆けて明らかにした BH4 の作用である。

## 3. ビオチン

販売：扶桑薬品、メルク・ホエイ

適応：急・慢性湿疹、小児湿疹、接触皮膚炎、脂漏性湿疹、尋常性ざ瘡

適応拡大：ホロカルボキシラーゼ合成酵素欠損症、ピオチニダーゼ欠損症、ミトコンドリア脳筋症を含むミトコンドリア代謝障害

剤型追加：原末が必要

ホロカルボキシラーゼ合成酵素欠損症、ピオチニダーゼ欠損症ではビオチン大量投与が唯一の治療法であり、投与されなければ予後は不良である。標準的治療として Nelson の教科書 (17 版) に記載されている。小児神経学会との共同提出。

## 4. フラジール内服錠 (メトロニダゾール)

販売：塩野義製薬

適応：トリコモナス症

適応拡大：メチルマロン酸血症、プロピオン血症における腸内嫌気性菌の殺菌。

剤型追加：散剤、水剤。

対象年齢拡大：全年齢

腸内細菌叢由来のプロピオン酸を低下させることにより原疾患のコントロールを改善させる治療法である。併用療法として Nelson の教科書 (17 版) にも記載されている。

## 5. その他の取り組み

アルギ U 顆粒、注 (アルギニン製剤)

販売：味の素ファルマ

適応：先天性尿素サイクル異常症

拡大対象疾患：MELAS における脳卒中発作の急性期治療とその予防

わが国で確立された新しい治療法である。MELAS 患者の脳卒中様発作の急性期に L-アルギニンを静注することにより、症状の軽減と次の発作の予防が可能。また経口投与にて予防効果がある。医師主導型治験が開始された。