



プレスリリース

2017年6月30日

報道関係各位

アレクシオンファーマ合同会社

この資料は、アレクシオン・ファーマシューティカルズ（米国コネチカット州ニューヘイブン）が2017年6月23日（現地時間）に発表したプレスリリースの日本語抄訳で、参考資料として提供するものです。その内容および解釈については英文プレスリリースが優先されます。英文プレスリリースは <http://www.alexion.com> をご参照ください。

アレクシオンのソリリス[®]（エクリズマブ）、 難治性全身型重症筋無力症（gMG）患者さんの治療に対して EUにて医薬品委員会（CHMP）から肯定的見解を取得

2017年6月23日、米国コネチカット州ニューヘイブン -- アレクシオン・ファーマシューティカルズは本日、欧州医薬品庁（EMA）の医薬品委員会（CHMP）が、ソリリス[®]（一般名：エクリズマブ）に関し、抗アセチルコリン受容体（AChR）抗体陽性の難治性全身型重症筋無力症（gMG）患者さんの治療への適応拡大に対する肯定的見解を示した、と発表しました。欧州委員会（EC）の最終決定は、2017年第3四半期に下されるものと予想されます。この新たな適応症が承認されれば、ソリリスは欧州連合（EU）において、抗AChR抗体陽性の難治性gMG患者さんの最初の治療薬として承認される、唯一の補体阻害薬となります。

アレクシオンのエグゼクティブ・バイスプレジデントでR&Dヘッドであるジョン・オーロフは次のように述べています。「gMGにはいくつかの治療選択肢がありますが、難治性gMGの患者さんは深刻な症状と合併症に苦しみ続けており、日常生活にも支障をきたしています。今回のCHMPの肯定的見解は、現在承認された治療法がない抗AChR抗体陽性の難治性gMG患者さんにソリリスを提供するための、重要なマイルストーンです」

難治性gMG患者さんには、歩きづらい、話しづらい、飲みこみづらい、呼吸しづらいという症状があります。病気の増悪やクリーゼが起これば、入院や集中治療が必要となり、生命が脅かされる恐れもあります。抗AChR抗体陽性の難治性gMGは、重症筋無力症（MG）患者さんの中でも稀です¹⁻¹⁰。

今回のCHMPの肯定的見解は、第III相REGAIN試験（MG-301）およびその長期継続試験（MG-302）のデータに基づき発出されました。CHMPの見解のサマリーは[こちら](#)からアクセスできます。

日本では、ソリリスについて難治性の gMG に対する効能追加の承認申請を行っています。また米国においては、抗 AChR 抗体陽性の難治性 gMG 患者さんの治療薬として、ソリリスの生物製剤承認一部変更申請 (sBLA) を行っています。ソリリスは、日本では難治性 gMG の治療薬として、米国および EU では MG の治療薬として、希少疾病用医薬品指定を取得しています。

ソリリスは米国、EU、日本などで、極めて稀な補体介在性疾患である発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH) および非典型溶血性尿毒症症候群 (aHUS) の治療薬として承認されています。

難治性の全身型重症筋無力症について

抗アセチルコリン受容体 (AChR) 抗体陽性の難治性の全身型重症筋無力症 (gMG) は、MG の中では稀であり、既存の治療法を行っても深刻な症状と合併症に苦しんでいます。現在、抗 AChR 抗体陽性の難治性 gMG 患者さんに対して承認された治療法はありません¹⁻³。

重症筋無力症は慢性進行性の消耗性自己免疫性神経筋疾患で、一般的に眼筋の筋力低下から始まり、さらに重症化して頭部、頸部、体幹、四肢および呼吸筋の筋力低下など、gMG として知られる全身型へと進行します⁴⁻⁶。gMG 患者さんの大半の症状は既存の治療法でコントロールできますが、10~15%の患者さんはこれら治療法では十分な効果が得られない難治性と言われています。難治性の患者さんは既存の治療法を尽くしても、全身の著しい筋力低下が継続し、その結果として不明瞭な会話、嚥下障害、複視や霧視、日常生活に支障を来すほどの疲労感、息切れ、身動きに介助を要する状態を呈し、頻繁な通院や ICU 治療が必要となり、入院が長期化したり呼吸不全の期間が長引く可能性があります。難治性 gMG の合併症、増悪、クレーゼが生じた場合、生命を脅かす恐れもあります^{5,7-10}。

抗 AChR 抗体陽性 MG の患者さんでは、神経筋接合部 (NMJ) の筋細胞上に存在する AChR に対する抗体が免疫系により産生されます。AChR は筋細胞に神経からの刺激を伝達する受容体で、抗体が結合すると補体カスケードが活性化され、NMJ が徐々に破壊されます。その結果、神経筋伝達障害が引き起こされ筋肉が正常に機能しなくなります^{4,5,8,11-13}。

ソリリス® (エクリズマブ) について

ソリリスは、アレクシオンが研究開発から承認、上市までを行ったファースト・イン・クラスの終末補体阻害剤です。ソリリスは、発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH) の患者さんに対する溶血を抑制する最初で唯一の治療薬として、日本では 2010 年 4 月に、米国および EU では 2007 年に承認を受けています。PNH は、補体介在性溶血 (赤血球細胞の破壊) を特徴とする、生命を脅かす超希少かつ消耗性の血液疾患です。ソリリスはまた、日本において 2013 年 9 月、米国および EU において 2011 年に、非典型溶血性尿毒症症候群 (aHUS) の患者さんに対する補体介在性血栓性微小血管症、つまり TMA (微小血管の血栓) を抑制する最初で唯一の治療薬としても承認を受

けています。この aHUS は補体介在性 TMA を特徴とする、超希少かつ致命的な消耗性の遺伝性疾患です。ソリリスは、志賀毒素産生大腸菌由来溶血性尿毒症症候群（STEC-HUS）の患者さんの治療は適応としていません。

補体阻害における画期的な医療革新に対し、アレクシオンとソリリスは 2008 年度ベストバイオテクノロジー医薬品として米ガリアン賞を受賞したほか、2009 年度仏ガリアン賞の希少疾患用医薬品部門を受賞するなど、製薬業界最高の栄誉を受けました。

アレクシオンについて

アレクシオンは、重篤な希少疾患を抱える患者さんの生活を一変させる治療薬の開発と提供に注力するグローバルなバイオ製薬企業です。アレクシオンは補体阻害におけるグローバルリーダーであり、生命を脅かす2つの超希少疾患である発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）および非典型溶血性尿毒症症候群（aHUS）の治療薬として初めてかつ唯一承認されている補体阻害薬を開発し、製造販売しています。また、アレクシオンの代謝性フランチャイズは、低ホスファターゼ症（HPP）とライソゾーム酸性リパーゼ欠損症（LAL-D）といった生命を脅かす超希少疾患の患者さんに対する2つの非常に革新的な酵素補充療法を有しています。さらに、アレクシオンは、複数の治療領域にわたる極めて革新的な製品候補を擁し、バイオテクノロジー業界において最も強固な希少疾患パイプラインを進展させています。本プレスリリースとアレクシオンファーマ合同会社に関する詳細についてはwww.alexionpharma.jpをご覧ください。

参考文献：

1. Carr A, Cardwell C, McCarron P, et al. A systemic review of population based epidemiological studies in Myasthenia Gravis. BMC Neurology. 2010, 10:46.
2. Silvestri N, Wolfe G. Treatment-refractory myasthenia gravis. J. Clin Neuromuscul Dis. 2014;15(4):167-178.
3. Regulation (EU) No 536/2014 of the European Parliament and of the Council of 16 April 2014 on clinical trials on medicinal products for human use, and repealing Directive 2001/20/EC. <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/PDF/?uri=CELEX:32000R0141&qid=1421232987002&from=EN>.
4. Huda R, Tüzün E, Christadoss P. Targeting complement system to treat myasthenia gravis Rev. Neurosci. 2014; 25(4): 575-583
5. Howard JF, Barohn RJ, Cutter GR, et al. A randomized, double-blind, placebo-controlled phase II study of eculizumab in patients with refractory generalized myasthenia gravis. Muscle Nerve. 2013;48(1):76-84.
6. Meriggioli MN, Sanders DB. Autoimmune myasthenia gravis: emerging clinical and biological heterogeneity. Lancet Neurol. 2009-8(5): 475-490.
7. Howard J. Targeting the Complement System in Refractory Myasthenia Gravis. Supplement to Neurology Reviews. February 2016.

8. National Institute of Neurological Disorders and Stroke. Myasthenia Gravis Fact Sheet. Last modified May 10, 2016. http://www.ninds.nih.gov/disorders/myasthenia_gravis/detail_myasthenia_gravis.htm. Accessed May 31, 2016.
9. Sathasivam S. Diagnosis and management of myasthenia gravis. Progress in Neurology and Psychiatry. January/February 2014.
10. Howard JF. Myasthenia gravis: A manual for the healthcare provider. Myasthenia Gravis Foundation of America, Inc. 2008.
11. Conti-Fine BM, Milani M, Kaminski HJ. Myasthenia gravis: past, present, and future. J Clin Invest. 2006;116(11):2843-2854.
12. Tüzün E, Huda R, Christadoss P. Complement and cytokine based therapeutic strategies in myasthenia gravis. J Autoimmun. 2011;37(2):136-143.
13. Meriggioli MN, Sanders DB. Muscle autoantibodies in myasthenia gravis: beyond diagnosis? Expert Rev. Clin. Immunol. 2012-8(5), 427-428

《本件に関するお問い合わせ先》
アレクシオンファーマ合同会社 コミュニケーション部
TEL : 03-5795-0740 FAX : 03-5795-0765
Email : Info.Japan@alexion.com