News Release

本プレスリリースには、医療用医薬品や開発品の情報を含むものがありますが、これらは医療用医薬品や開発品のプロモーション、広告を目的とするものではありません。

2026 年 9 月 16 日

報道関係者各位

アレクシオンファーマ合同会社

クライジェファ®、全身型重症筋無力症（gMG）の成人患者に対する治療薬として日本で承認取得

全身型重症筋無力症の日常生活動作スコアの統計学的に有意かつ臨床的に意義のある改善を示した第 III 相臨床試験 PREVAIL 試験の結果に基づく

新規の二重結合ナノボディが、迅速かつ持続的な症状コントロールを実現可能に、週 1 回の自己皮下投与という治療選択肢を提供

アレクシオンファーマ合同会社（本社：東京都港区、社長：濱村美砂子、以下アレクシオンファーマ）は本日、クライジェファ®皮下注 300mg（一般名：ゲフルリマブ、以下「クライジェファ」）が、全身型重症筋無力症（gMG）（ステロイド剤又はステロイド剤以外の免疫抑制剤が十分に奏効しない場合に限る）を効能又は効果として製造販売承認を取得したことをお知らせします [1]。「クライジェファ」は、gMG 患者さんに対する初めての二重結合ナノボディの C5 阻害剤です。

厚生労働省による今回の承認は、第 III 相臨床試験 PREVAIL 試験の良好な結果に基づくものであり、この試験結果は、米国神経筋・筋電図学会議（AANEM）2025 年年次総会の米国重症筋無力症財団（MGFA）の学術セッションで発表され、*JAMA Neurology* 誌に掲載されました [2]。

gMG は、筋機能障害と重度の筋力低下を特徴とする、希少な自己免疫疾患です [3]。gMG の患者さんは、初期に不明瞭な会話、複視、眼瞼下垂、筋力低下などの症状を呈することがあり、病気が進行するにつれ、極度の疲労、嚥下障害、息切れ、呼吸不全など、より重篤な症状につながる可能性があります [4,5]。日本では、推定で 21,000 人の患者さんが gMG と診断されており、うち約 18,000 人が抗アセチルコリン受容体（AChR）抗体陽性です [6]。

PREVAIL 試験の治験医師であり、東京医科大学脳神経内科 増田眞之客員教授は、次のように述べています。「全身型重症筋無力症（gMG）では、症状が急激に変動し、患者さんの日常生活に大きな影響を及ぼすことがあります。抗アセチルコリン受容体（AChR）抗体陽性の gMG では、終末補体経路の活性化が病態の主たる要因の一つと考えられています。この終末補体経路を標的とする C5 阻害療法は、こうした症状に対応するため、長年にわたり治療の中心的な役割を担ってきました。今回、週 1 回の自己投与が可能な C5 阻害剤『クライジェファ』が承認され、gMG 成人患者さんに新たな治療選択肢が加わります。今回の承認は、gMG による疾病負担の軽減と生活の質（QOL）の向上に寄与するものであり、C5 を標的とした迅速かつ、持続的な疾患コントロールを維持しながら、患者さんにより高い自立性と治療の柔軟性を提供できるようになります」

アレクシオン・アストラゼネカ・レアディジーズの最高経営責任者であるマーク・デュノワイエは次のように述べています。「世界初となる二重結合ナノボディの『クライジェファ』は、gMG 患者さんの治療を前進させるという当社のコミットメントを体現するものであり、日本の gMG 成人患者さんに、迅速かつ持続的な症状コントロールを実現可能にします。週 1 回の自己投与という治療選択肢を提供できることを嬉しく思います」

PREVAIL 試験の結果、「クライジェファ」は主要評価項目を達成し、26 週目の gMG の日常生活動作スコアである Myasthenia Gravis Activities of Daily Living（MG-ADL）総スコアにおいて、プラセボと比較してベースラインからの改善を示しました（投与群間差：-1.6［95%CI：-2.4、-0.8］、p<0.0001）。PREVAIL 試験において「クライジェファ」はすべての副次評価項目も達成しました。改善は 1 週目に認められ、26 週目まで持続しました [2]。さらに、主要な副次評価項目である Quantitative Myasthenia Gravis（QMG：定量重症筋無力症）総スコアの臨床的に意義のある改善は、4 週目に認められ（投与群間差：-1.8［95%CI：-2.5、-1.1］、p<0.0001）、26 週目まで持続しました（投与群間差：-2.1［95%CI：-3.1、-1.1］、p<0.0001）[2]。

PREVAIL 試験結果で有害事象（TEAE）が認められた被験者の割合は、「クライジェファ」群とプラセボ群で同程度であり、認められた TEAE の大部分は軽度から中等度（グレード 1 または 2）でした。主な TEAE は、「クライジェファ」群では注射部位反応（9.9%）、頭痛（9.9%）および背部痛（7.6%）であり、プラセボ群では頭痛（12.4%）、下痢（8.5%）および上気道感染（7.8%）でした [2]。「クライジェファ」の忍容性は概ね良好で、安全性プロファイルは C5 阻害剤であるエクリズマブおよびラブリズマブの gMG を対象とした既存の臨床試験データと一致していました [2]。

PREVAIL 試験の結果に基づき、米国、欧州連合（EU）、中国およびその他の国々で製造販売承認申請中です。

注釈

全身型重症筋無力症（Generalized Myasthenia Gravis: gMG）について

全身型重症筋無力症（gMG）は、筋機能障害と重度の筋力低下を特徴とする、希少な自己免疫疾患です [3]。gMG 患者さんの 85%は抗アセチルコリン受容体（AChR）抗体陽性であり、運動神経とそれが支配する筋肉との接続部位である神経筋接合部（NMJ）に存在するアセチルコリン受容体(AChR)に結合する抗 AChR 抗体を産生します [7]。この結合は補体系を活性化し、その結果、免疫系による NMJ の破壊が引き起こされることにより、炎症が生じ、神経から筋肉への情報伝達が遮断されます [8]。gMG は、年齢を問わず発症する可能性がありますが、世界では、最も一般的には女性では 40 歳以下、男性では 60 歳以上で発症がみられるという報告があります [9]。初期症状には不明瞭な会話、複視、眼瞼下垂、四肢の筋力低下などがあり、病気が進行するにつれ、嚥下障害、息切れ、極度の疲労、呼吸不全など、より重篤な症状につながる可能性があります [4,5]。

PREVAIL 試験（ALXN1720-MG-301）について

PREVAIL 試験（ALXN1720-MG-301）は、全身型重症筋無力症（gMG）の成人患者さんを対象にした「クライジェファ」の安全性および有効性を評価する国際多施設共同、無作為化、二重盲検、プラセボ対照、並行群間第 III 相臨床試験です。本試験は、北米、欧州、アジアおよび太平洋地域の 20 カ国で 260 人の被験者を登録しました。被験者の要件は、スクリーニング来院の少なくとも 3 カ月前に gMG の確定診断を受けており、血清学的検査で AChR に対する自己抗体が陽性で、スクリーニング時の Myasthenia Gravis Foundation of America 臨床分類はクラス II～IV でした [10]。

被験者は、無作為化比較投与期間の 26 週間にわたり、「クライジェファ」投与群またはプラセボ投与群に 1:1 で無作為に割り付けられました。被験者には、投与開始日に体重に基づく導入用量が単回投与され、投与開始 8 日目およびそれ以降は週 1 回の頻度で、体重に基づく維持用量が投与されました。主要評価項目は、被験者の日常活動能力を評価する患者報告尺度である Myasthenia Gravis Activities of Daily Living（MG-ADL）総スコアのベースラインからの変化量であり、疾患関連指標の改善を評価する複数の副次評価項目とともに 26 週目に評価されました [10]。

無作為化比較投与期間を終了した患者さんは、現在進行中の「クライジェファ」の安全性および有効性を評価する非盲検延長期間を継続することができます[10]。

クライジェファ®皮下注（一般名：ゲフルリマブ）について

クライジェファ®皮下注（一般名：ゲフルリマブ、以下「クライジェファ」）は補体 C5 阻害剤であり、抗 AChR 抗体陽性の gMG 治療薬で、自己皮下投与が可能な新規の二重結合ナノボディです。本剤は身体の免疫系の一部である終末補体カスケードの補体タンパク C5 に結合することで作用します。補体カスケードが制御不能な活性化を起こすと、過剰反応して、体内で自己の健康な細胞を攻撃するようになります。「クライジェファ」は血清アルブミンと同時に結合することにより、半減期が延長され、週 1 回の投与が可能になります。「クライジェファ」は、全身型重症筋無力症（ステロイド剤又はステロイド剤以外の免疫抑制剤が十分に奏効しない場合に限る）を対象として日本で承認を受けています。

アレクシオンファーマ合同会社について

アレクシオンファーマ合同会社は、アストラゼネカの希少疾病部門アレクシオン・アストラゼネカ・レアディジーズ（本社：米国ボストン）の日本法人として、患者さんの人生を一変させるような治療薬の発見、開発、提供を通じて、希少疾患ならびに深刻な病状の患者さんとそのご家族への貢献に注力しています。30 年以上にわたり希少疾患領域の先駆的なリーダーであるアレクシオンは、補体系の複雑な仕組みを活用して革新的な治療薬を創製した最初の企業であり、現在も多くのアンメットニーズを有する疾患領域において、さまざまなイノベーションのもと、多様なパイプラインを構築しています。アストラゼネカの一員として、世界中の、より多くの希少疾患をもつ患者さんに治療薬をお届けできるよう、グローバル展開を拡大し続けています。
公式サイト：https://www.alexionpharma.jp/、公式 YouTube チャンネル ：@alexionpharma_japan

アストラゼネカについて

アストラゼネカは、サイエンス志向のグローバルなバイオ医薬品企業であり、主にオンコロジー領域、希少疾患領域、循環器・腎・代謝疾患、呼吸器・免疫疾患からなるバイオファーマ領域において、医療用医薬品の創薬、開発、製造およびマーケティング・営業活動に従事しています。英国ケンブリッジを本拠地として、当社の革新的な医薬品は 125 カ国以上で販売されており、世界中で多くの患者さんに使用されています。詳細については https://www.astrazeneca.com または、ソーシャルメディア@AstraZeneca をフォローしてご覧ください。

References

1. Klygefa (gefurulimab) Japanese prescribing information; September 2026.
2. Gwathmey KG. Efficacy and safety of subcutaneous self-administered gefurulimab in generalized myasthenia gravis: topline results from a phase 3, randomized, double-blind, placebo-controlled study (PREVAIL). Presented at the Myasthenia Gravis Foundation of America (MGFA) Scientific Session at the 2025 American Association of Neuromuscular & Electrodiagnostic Medicine (AANEM) Annual Meeting; 2025 October 29; San Francisco, CA.
3. Jung-Plath W, et al. Assessment of myasthenia gravis patients' quality of life. The Journal of Neurosurgical Nursing. 2023;12(2):74-83.
4. Catalin J, et al. Clinical presentation of myasthenia gravis. Thymus. 2019.
5. Farid ZR, et al. Factors affecting generalization of ocular myasthenia gravis. Sriwijaya Journal of Ophthalmology. 2020;3(2):48-54.
6. AstraZeneca Data on File - Epidemiology estimates are composed of a triangulation of different data sources including Data Monitor, Decision Resources Group, Kantar Health, and internal input. Available here. Accessed September 2026.
7. Lazaridis K, et al. Myasthenia gravis: autoantibody specificities and their role in MG management. Front Neurol. 2020;11:596981.
8. Huang YF, et al. Visualization and characterization of complement activation in acetylcholine receptor antibody seropositive myasthenia gravis. Muscle Nerve. 2024.
9. Cavanagh N, et al. Exploring the impairments and allied health professional utilization in people with myasthenia gravis: a cross-sectional study. J Clin Neurosci. 2023;114:9-16.
10. ClinicalTrials.gov. Safety and efficacy of ALXN1720 in adults with generalized myasthenia gravis. NCT Identifier: NCT05556096. Available here. Accessed September 2026.