News Release

本資料はアストラゼネカ英国本社（AstraZeneca PLC）が、投資家/ビジネスパートナーの皆様からのご要望に応えるため、2025 年 7 月 24 日に発信したプレスリリースを日本語に翻訳し、参考資料として提供するものです。本資料の正式言語は英語であり、その内容・解釈については英語が優先します。なお、本リリースには、本邦未承認の情報を含みます。
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。

2025 年 8 月 7 日

報道関係者各位

アレクシオンファーマ合同会社

二重結合ナノボディであるゲフルリマブ、第 III 相臨床試験 PREVAIL 試験において全身型重症筋無力症の成人患者さんの日常生活動作に対し統計的に有意かつ臨床的に意義のある改善を実証

週 1 回自己皮下投与の補体 C5 阻害剤は 26 週目の疾患重症度で統計的に有意かつ臨床的に意義のある改善を示す

抗アセチルコリン受容体（AChR）抗体陽性の全身型重症筋無力症（generalized myasthenia gravis: gMG）の成人患者さんを対象とした、国際共同、無作為化、二重盲検、プラセボ対照第 III 相臨床試験の主な肯定的結果が発表され、ゲフルリマブ（一般名）は主要評価項目とすべての副次評価項目を達成しました。26 週目の 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、統計的に有意かつ臨床的に意義のあるベースラインからの改善が示されました。

gMG は、筋機能障害と重度の筋力低下を引き起こす、希少な消耗性の慢性自己免疫神経筋疾患です [1]。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 [2,3]。

バージニア・コモンウェルス大学（バージニア州リッチモンド）の神経学准教授、神経筋部門長、MGFA 医学・科学諮問委員会副議長であり、本試験の治験責任医師を務めるケリー・グワスミー医学博士は次のように述べています。「gMG に伴う急激に変動する症状および予測不可能な障害は、患者さんの生活のほぼあらゆる側面に影響を及ぼすことから、早期の介入と持続的な疾患管理が重要な治療目標となります。本試験で結果が示された週 1 回自己投与する補体 C5 阻害剤が将来、治療選択肢に加わることは、症状を管理する上での利便性と自立性を患者さんに提供できる可能性があります」

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。「アレクシオンの gMG における先駆的なリーダーシップに加えて、ゲフルリマブの第 III 相試験 PREVAIL 試験の肯定的な結果が発表されたことで、gMG の早期かつ持続的な疾患管理の可能性が示されました。20 カ国の患者さんのデータを反映したこれらの結果は、既存の補体 C5 阻害剤の安全性プロファイルと有効性を裏付けるものであり、自己投与という利便性を備えた新たな治療選択肢としてのゲフルリマブの可能性を示すものです」

ゲフルリマブの忍容性は良好で、安全性プロファイルは gMG における既存の補体 C5 阻害剤の臨床試験データと一致しており、新たな安全性シグナルは観察されませんでした。これらのデータは、今後の医学学会で発表され、各国の規制当局に共有される予定です。

注釈

全身型重症筋無力症（generalized myasthenia gravis: gMG）について

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 [1]。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、神経細胞と神経細胞が制御する筋肉との接続点である神経筋接合部（NMJ）でシグナル受容体に特異的に結合する抗 AChR 抗体を産生します [4]。この結合は補体系を活性化し、免疫系による NMJ の破壊が引き起こされることにより、炎症や、脳と筋肉との間の情報伝達の遮断につながります [5]。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 [6]。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 [2,3]。

ゲフルリマブについて

ゲフルリマブ（一般名）は、臨床試験段階にある補体 C5 阻害剤であり、抗 AChR 抗体陽性の gMG 治療薬として開発中の、自己皮下投与が可能な新規の二重結合ナノボディです。本治験薬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。ゲフルリマブ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。ゲフルリマブは、重症筋無力症を対象として米国で希少疾病用医薬品指定を受けています。

PREVAIL 試験（ALXN1720-MG-301）について

PREVAIL 試験は、全身型重症筋無力症（gMG）の成人患者さんを対象にしたゲフルリマブ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 臨床分類がクラス II～IV であることでした [7]。

被験者は、無作為化比較投与期間の 26 週間にわたり、ゲフルリマブ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 [7]。

無作為化比較投与期間を終了した患者さんは、現在進行中のゲフルリマブ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 [7]。

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. Jung-Plath W, et al. Assessment of myasthenia gravis patients' quality of life. The Journal of Neurological and Neurosurgical Nursing. 2023;12(2):74-83.
2. Catalin J, et al. Clinical presentation of myasthenia gravis. Thymus. 2019.
3. Farid ZR, et al. Factors affecting generalization of ocular myasthenia gravis. Sriwijaya Journal of Ophthalmology. 2020;3(2):48-54.
4. Lazaridis K, et al. Myasthenia gravis: autoantibody specificities and their role in MG management. Front Neurol. 2020;11:596981.
5. Huang YF, et al. Visualization and characterization of complement activation in acetylcholine receptor antibody seropositive myasthenia gravis. Muscle Nerve. 2024.
6. 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.
7. ClinicalTrials.gov. Safety and efficacy of ALXN1720 in adults with generalized myasthenia gravis. NCT Identifier: NCT05556096. Available here. Accessed July 2025.