



プレスリリース

2017年3月16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3月8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。

FDA がソリリス®（エクリズマブ）の 難治性全身型重症筋無力症（gMG）患者さんに対する 生物製剤承認一部変更申請を受理

2017年3月8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、米国食品医薬品局（FDA）が、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）患者さんの治療薬として、ソリリス®（エクリズマブ）の適応を拡大するための生物学的製剤承認一部変更申請（sBLA）を受理したことを発表しました。この申請は、第 III 相 REGAIN 試験の総合的なデータに基づいて行われました。FDA は処方薬ユーザーフィー法（PDUFA）に基づき、審査最終目標日を2017年10月23日に設定しました。

「有効な治療薬を直ぐにも必要としている患者さんに対して、生活を一変させる可能性があるこの治療薬をお届けできるよう、今後も FDA と協力して参ります」と、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 グローバルヘッドのマーティン・マッケイは述べています。「難治性 gMG は超希少疾患です。gMG に対する治療法が様々ありますが、こうした治療に難治性の gMG 患者さんは、歩行しづらい、話しづらい、呑み込みづらい、普通に呼吸しづらいといった深刻な症状に未だに直面しています。病気が増悪すれば、命を脅かされることにもなりかねず、入院や集中治療が必要になります。」

この新たな適応症が承認されれば、ソリリスは抗 AChR 抗体陽性の難治性 gMG 患者さんに対する最初で唯一の補体阻害薬となります。ソリリスは MG 患者さんの治療薬として、米国、EU および日本において希少疾病用医薬品指定（ODD）を取得しています。なお、ソリリスが、抗 AChR 抗体陽性の難治性 gMG 患者さんの治療薬として承認されている国はありません。

難治性全身型重症筋無力症について¹⁻⁸

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）は、MG の中では極めて稀であり、補体系により神経筋接合部（NMJ）に進行性に炎症をきたす、慢性進行性の

消耗性自己免疫性神経筋疾患です。難治性の抗 AChR 抗体陽性 gMG 患者さんは、既存の治療法を行っても重症化します。

重症筋無力症は一般的に、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。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、むせ、複視、日常生活に支障を来すほどの疲労感、呼吸筋の筋力低下による息切れを示し、頻繁な通院、呼吸不全の治療期間も含めた ICU 治療、長期入院が必要となります。

抗 AChR 抗体陽性 MG の患者さんでは、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て NMJ の破壊につながります。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。

現在、抗 AChR 抗体陽性の難治性 gMG という超希少疾患に苦しむ患者さんに対して承認された治療法はありません。

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当局の承認、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、米国 (2007)、欧州連合 (2007)、日本 (2010) およびその他の国々の規制当局から、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の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、米国 (2011)、欧州連合 (2011)、日本 (2013) およびその他の国々において、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に関する詳細については www.alexion.com をご覧ください。

参考文献：

1. Suh J, Goldstein JM, Nowak RJ. Clinical characteristics of refractory myasthenia gravis patients. *Yale J Biol Med.* 2013; 86:255-60.
2. Gilhus NE, Verschuuren JJ. Myasthenia gravis: subgroup classification and therapeutic strategies. *Lancet Neurol.* 2015; 14:1023-36.
3. Drachman D, Adams R, Hu R, Jones R, Brodsky R. Rebooting the immune system with high-dose cyclophosphamide for treatment of refractory myasthenia gravis. *Ann NY Acad Sci.* 2008; 1132:305-314.
4. Sathasivam S. Diagnosis and management of myasthenia gravis. *Prog Neurol Psychiatry.* 2014; 18(1):6-14.
5. Howard JF, ed. *Myasthenia Gravis: A Manual for the Health Care Provider.* St. Paul, MN: Myasthenia Gravis Foundation of America, Inc.; 2008.
6. Safety and efficacy of eculizumab in refractory generalized myasthenia gravis (REGAIN study). Clinicaltrials.gov identifier NCT01997229.
7. Melzer N, Ruck T, Fuhr P, et al. Clinical features, pathogenesis, and treatment of myasthenia gravis: a supplement to the Guidelines of the German Neurological Society. *J Neurol.* 2016 Feb 17. [Epub ahead of print]
8. Targeting the Complement System in Refractory Myasthenia Gravis. Supplement to Neurology Reviews. February 2016.

《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