



## プレスリリース

2020年5月27日

報道関係各位

アレクシオンファーマ合同会社

### RDD（世界希少・難治性疾患の日）の東京イベント RDD Tokyo で 協賛セッションを開催

— RDD Tokyo はオンラインで5月30日（土）に開催 —

— 指定難病の視神経脊髄炎と共に生きるソプラノ歌手  
坂井田真実子さんによるトーク&ミニリサイタル —

希少疾患に特化したバイオ製薬企業のリーディング・カンパニーであるアレクシオン（本社：米国マサチューセッツ州）の日本法人であるアレクシオンファーマ合同会社（本社：東京都渋谷区、社長：笠茂 公弘）は、5月30日（土）に開催される RDD（Rare Disease Day:世界希少・難治性疾患の日）の東京イベント「RDD Tokyo」（主催：RDD 日本開催事務局）で協賛セッションを開催します。このセッションでは、視神経脊髄炎の患者さんでソプラノ歌手の坂井田真実子さんによるトーク&ミニリサイタルを行います。

今回の協賛セッションでご自身の体験談と歌声を披露していただく坂井田真実子さんは、次のようにコメントしています。「RDD Tokyo 開催にあたって、このような機会を頂きましたことを大変嬉しく思っております。視神経脊髄炎を発症し、一時は下半身不随となりましたが、多くの方のご理解と支えにより、現在は病気や後遺症と共存しつつソプラノ歌手としてステージに復帰することができて、とても感謝しています。私の体験談と歌声を通じて、希少疾患と共に生きている皆さまや、支えているご家族の皆さんに少しでも笑顔と希望をお届けできれば幸いです。

RDD Tokyo は当初、2月29日に東京ミッドタウン（六本木）で開催される予定でしたが、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）対策に関する諸々の状況を考慮し、5月30日に開催が延期されました。そして今回、さらに COVID-19 の現状を考慮してオンラインでの開催となりました。

希少疾患（Rare Disease）は、患者数が少なく認知度が低いため、診断までに時間がかかることが多く、診断に至るまでの道のりは平均で約5年、その間に患者さんは病院を7回以上変えていることが報告されています<sup>1</sup>。また、希少疾患は7,000を超える疾患数がありますが、現在治療可能な疾患は5%のみです<sup>2</sup>。

アレクシオンファーマは、「生活を変えるような革新的な治療薬で、希少疾患の患者さんとそのご家族に希望をお届けする」というミッションのもと、今回の RDD2020 への協賛をはじめ希少疾患への取り組みを積極的に行うことで、希少疾患の患者さんやそのご家族の方々の生活の質の向上に貢献できることを願っています。

## ■ RDD Tokyo (RDD2020 東京会場 イベント) 概要

日時： 2020年5月30日(土) 10:30~19:30

開催形式：オンライン開催 ライブ動画配信リンク <https://www.youtube.com/c/RDDJapan>

主催： RDD 日本開催事務局

内容： 患者さんの生の声：患者さんご本人やご家族からのお話  
研究者、医療者や患者支援団体の方からの基調講演 など

イベントの詳細は、公式ホームページをご覧ください。

<https://rddjapan.info/2020/officials-tokyo/>

アレクシオンファーマによる協賛セッションの詳細は、以下の URL からご覧ください。

<https://alexionpharma.jp/>

## 視神経脊髄炎スペクトラム障害 (NMOSD) について

NMOSD は稀で深刻な自己免疫性の中枢神経系炎症性疾患で、疾患の経過に抗アクアポリン 4 (AQP4) 抗体による補体活性化が重要な役割を果たします<sup>3,6</sup>。NMOSD 患者さんは、再発とも呼ばれる予測できない発作に見舞われ、これが視神経や脊髄など中枢神経系に不可逆的な損傷を与えて長期的障害が生じることがあります。NMOSD に最もよくみられる症状は、視神経炎と横断性脊髄炎です。視神経炎になると、失明などの視覚障害が生じることがあり、横断性脊髄炎では、麻痺などの運動障害が起こることがあります。NMOSD は若い女性に多く認められ、日本における NMOSD の発症年齢のピークは 30 代後半から 40 代前半です<sup>12</sup>。

NMOSD 患者さん全体の約 4 分の 3 (73%) が抗 AQP4 抗体を有しています<sup>7</sup>。抗 AQP4 抗体陽性の NMOSD 患者さんでは、自己免疫系が自身を攻撃し、眼、脳および脊髄などの特定の細胞上に存在するタンパク質である AQP4 に対し、自己抗体を産生することがあります。これらの抗 AQP4 抗体が AQP4 に結合することにより、補体経路が活性化されます。抗 AQP4 抗体による補体活性化により中枢神経系の主要な細胞が破壊され、主に脊髄や視神経で脱髄や神経細胞死をもたらします。

## 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、アレクシオン・ファーマシューティカルズ (米国マサチューセッツ州ボストン) の日本法人です。アレクシオンは、生活を変えるような革新的な治療薬を発見、開発、販売することで、希少疾患の患者さんとご家族に貢献すること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、20 年以上にわたる補体領域のリーダーとして、発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH) と非典型溶血性尿毒症症候群 (aHUS) の患者さんに対する治療薬として承認された 2 つの補体阻害薬、ならびに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 (gMG) と、視神経脊髄炎スペクトラム障害 (NMOSD) の患者さんに対する治療薬として初めてかつ唯一承認された補体阻害薬を開発し、製造販売しています。アレクシオンはまた、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。更に、アレクシオンは現在、ウィルソン病に対する銅結合剤、稀な免疫グロブリン G (IgG) 介在性疾患に対する抗胎児性 Fc 受容体 (FcRn) 抗体や経口 Factor D 阻害薬などを中・後期の段階で開発しており、また軽鎖 (AL) アミロイドーシスに対する抗胎児性 Fc 受容体 (FcRn) 抗体、2 番目の経口 Factor D 阻害薬や 3 番目の補体阻害薬などを初期の段階で開発しています。アレクシオンは、補体カスケードにおける新しい分子やターゲットの研究に重点的に取り組んでおり、血液、腎臓、神経系、代謝性疾患および心臓といった重点治療領域の開発にも重点をおいています。

アレクシオンは世界中にオフィスを有し、50 ヶ国以上の患者さんに貢献しています。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](http://www.alexionpharma.jp) をご覧ください。

**参考文献：**

1. Engel PA, Bagal S, Broback M, Boice N. Physician and patient percepts regarding physician training in rare diseases: the need for stronger educational initiatives for physicians. Journal of rare Diseases. 2013;1(2):1-15.
2. RARE Facts - Global Genes: <https://globalgenes.org/rare-facts/>

《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