



プレスリリース

2021年5月25日

報道関係各位

アレクシオンファーマ合同会社

抗補体（C5）モノクローナル抗体製剤エクリズマブ（遺伝子組換え） がギラン・バレー症候群の治療に対し 厚生労働省より希少疾病用医薬品指定を取得

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24日、エクリズマブ（遺伝子組換え）【以下エクリズマブ】が、「ギラン・バレー症候群」を予定される効能・効果として、厚生労働省より希少疾病用医薬品指定を受けましたのでお知らせいたします。

ギラン・バレー症候群（Guillain-Barre Syndrome: 以下、GBS）は、自己の免疫が誤って末梢神経の一部を攻撃することで生じる稀で急性の末梢神経障害です。GBSの症状は、短時間の脱力を伴う非常に軽度なものから重度の麻痺に至るまでさまざまです。重篤な自律神経障害を伴うことや重症例では人工呼吸器を必要とする場合もあり、後遺症が残ったり死に至る可能性もあります。このような臨床経過から、急性期の治療が極めて重要とされています。

GBSの原因はまだ完全には解明されていませんが、補体の活性化とそれによる膜侵襲複合体（MAC）形成が大きな役割を果たしていると考えられています。エクリズマブは終末補体カスケードのC5を特異的な標的とする選択的ヒト化モノクローナル抗体で、補体活性化に伴うC5のC5aとC5bへの開裂を阻害します。C5の関与する補体カスケードを効果的に遮断することにより、炎症誘発性メディエーターの放出及び細胞溶解性の孔形成（MAC形成）を抑制します。

GBSに対するエクリズマブ治療を評価した医師主導第Ⅱ相試験の結果¹⁾を参考に、アレクシオンファーマ合同会社は現在、エクリズマブのGBS患者に対する有効性及び安全性を検証するための第Ⅲ相臨床試験を国内で実施しています。

希少疾病用医薬品の指定制度は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少なく、研究開発が十分に進んでいない医薬品等の開発を支援することを目的としています。医薬品医療機器等法第77条の2に基づき、対象患者数が日本において5万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定するものです。

エクリズマブは日本において、2010年に発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）に対して承認されて以来、非典型溶血性尿毒症症候群（aHUS）、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）および抗アクアポリン4（AQP4）抗体陽性の視神経脊髄炎スペクトラム障害（NMOSD）に対して承認されています。

ギラン・バレー症候群（GBS）について

GBSは、自己の免疫が誤って末梢神経の一部を攻撃することで生じる稀で急性の自己免疫による末梢神経障害です。感冒や下痢などの先行感染後に、末梢神経に対するアレルギー反応による炎症が生じ、手足のしびれと麻痺を急速にきたします。感染を引き起こした病原体を攻撃するための免疫反応が、自分自身の神経を攻撃してしまうことにより、神経が障害され、麻痺としびれが生じることが示されています。GBSは、年齢や性別にかかわらず誰でもが発症する可能性のある疾患で、日本では、年間約1400人程度の発症があります²⁾。

GBSの症状は、短時間の脱力を伴う非常に軽度なものから重度の麻痺に至るまでさまざま、重症例では、人工呼吸器を必要とする場合もあります。患者さんの3-5%が合併症で死亡し、また約20%の患者さんに重い後遺症が残っていると推定されています^{3) 4)}。

エクリズマブ（遺伝子組換え）について

エクリズマブは、免疫システムの一部である補体カスケードの終末部においてC5タンパク質を阻害することで作用する、ファースト・イン・クラスの補体阻害薬です。制御不能な終末補体カスケードの活性化は、重症な希少疾患ならびに超希少疾患に関与しています。エクリズマブはソリリス®の商品名で、米国、EU、日本およびその他の国々において成人のPNHおよび成人と小児のaHUS患者さんの治療薬として承認されています。また、日本では免疫グロブリン大量静注療法または血液浄化療法による症状の管理が困難な抗AChR抗体陽性のgMG患者さんの治療薬、ならびに抗AQP4抗体陽性NMOSDの患者さんに対する治療薬として承認されています。米国では、全身型MG（gMG）の成人患者さんならびに抗AQP4抗体陽性視神経脊髄炎スペクトラム（NMOSD）の成人患者さんに対する治療薬として承認されています。EUでは抗AChR抗体陽性の成人の難治性gMG患者さんの最初で唯一の治療薬ならびに再発を繰り返す抗AQP4抗体陽性NMOSDの成人患者さんに対する治療薬として承認されています。

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、生活を一変させるような治療薬を発見、開発、販売することで、希少疾患ならびに深刻な状態の患者さんに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、25年以上にわたる希少疾患のグローバルリーダーとして、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）および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 つの酵素補充療法を有しています。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。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. Sonoko Misawa, Satoshi Kuwabara et al. "Safety and efficacy of eculizumab in Guillain-Barré syndrome: a multicentre, double-blind, randomised phase 2 trial." *The Lancet Neurology*. 2018;17.6: 519-529.
2. 斉藤豊和ほか：ギラン・バレー症候群の全国疫学調査第一次アンケート調査の結果報告結果. 厚生省特定疾患 免疫性神経疾患調査研究分科会 平成 10 年度研究 報告書 1999;59-60.
3. Kuwabara S. Guillain-Barré syndrome: epidemiology, pathophysiology and management. *Drugs*. 2004; 64.6: 597-610.
4. WHO.Media center. 10 October 2016 Guillain-Barré syndrome
<http://www.who.int/mediacentre/factsheets/guillain-barre-syndrome/en/>

《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 広報代理
ボックスグローバル・ジャパン株式会社 杉山
TEL:03-6204-4320 E-mail:rie.sugiyama@voxglobalasia.com