

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。

2022年11月16日

報道関係者各位

アレクシオンファーマ合同会社

神経線維腫症 1 型における叢状神経線維腫に対する国内初の経口治療薬 「コセルゴ® カプセル 10mg」「コセルゴ® カプセル 25mg」を発売

主な治療選択肢が手術に限られてきた患者さんへ新たな希望となる経口薬を提供

アレクシオンファーマ合同会社（本社：東京都港区、社長：笠茂公弘）は、「コセルゴ® カプセル 10mg」「コセルゴ® カプセル 25mg」【一般名：セルメチニブ硫酸塩、以下コセルゴ®】の販売を11月16日より開始いたしましたのでお知らせします。

コセルゴ® は、神経線維腫症 1 型（NF1: neurofibromatosis type 1）における叢状神経線維腫（読み：そうじょうしんけいせんいしゅ、PN: plexiform neurofibromas）を対象とした国内初の経口治療薬です¹。



（左より）コセルゴ® カプセル 10mg、コセルゴ® カプセル 25mg

製品概要

製品名	コセルゴ® カプセル 10mg コセルゴ® カプセル 25mg
一般名	セルメチニブ硫酸塩
効能又は効果*	神経線維腫症 1 型における叢状神経線維腫
用法及び容量*	通常、小児にはセルメチニブとして 1 回 25mg/m ² （体表面積）を 1 日 2 回空腹時に経口投与するが、患者の状態により適宜減量する。 ただし、1 回量は 50mg を上限とする。
製造販売承認日	2022 年 9 月 26 日
薬価	コセルゴ® カプセル 10mg 1 カプセル 12,622.80 円 コセルゴ® カプセル 25mg 1 カプセル 30,257.80 円
薬価基準収載日	2022 年 11 月 16 日
発売日	2022 年 11 月 16 日
製造販売元	アレクシオンファーマ合同会社

*効能又は効果に関連する注意並びに用法及び用量に関連する注意は、本剤の電子添文をご覧ください。

アレクシオンファーマ合同会社社長の笠茂公弘は次のように述べています。「神経線維腫症 1 型における叢状神経線維腫は今まで根本的な治療薬が無く、主な治療選択肢が手術に限られていました。そのため、痛みを伴う身体的な苦痛、外見の変形等の問題に起因する精神的な苦痛に加え、病態の進行や予後への不安を抱えながら生活する患者さんとご家族も少なくありません。国内初の治療薬コセルゴ[®]を、新たな希望として患者さんとご家族に届けられることは大変喜ばしく、我々にとって大きな励みとなります。引き続き『すべての希少疾患をもつ人々に人生を変える治療法と希望を届ける』という当社のパーパスのために、革新的な治療法の研究開発に努めてまいります。」

NF1 は、世界で出生約 3,000 人に 1 人が罹患している遺伝性疾患であり、10 歳未満の小児で最もよく診断されます^{2,3}。患者さんの 30~50%で神経鞘に PN が発生し、外見の変形、運動機能障害、疼痛、気道の障害、視力障害、膀胱／腸の機能障害などの病的状態を引き起こすことがあります⁴⁻⁸。このような症状は、細胞増殖に関与する特定の酵素が過剰に活性化され腫瘍細胞の増殖が制御不能になることで起こります。

コセルゴ[®]は、この細胞増殖に関与する酵素である分裂促進因子活性化プロテインキナーゼ (MEK1 および MEK2) を阻害することにより、腫瘍細胞の増殖を抑制します¹。コセルゴ[®]の承認は、米国国立がん研究所 (NCI) のがん治療評価プログラム (CTEP) による SPRINT 試験第 II 相パート層 1 の結果に基づくものです。コセルゴ[®]を 3 歳から 18 歳の疼痛や外観上の変形等の臨床症状を有し、重大な合併症のリスクを伴うことなく切除できない PN を有する患者さんに経口投与したところ、腫瘍の縮小が認められたことが明らかとなりました^{1,4}。客観的奏効率 (ORR) は 66% (50 例中 33 例) であったことが示されました¹。ORR は、完全奏効 (PN の消失) または部分奏効 (20%以上の腫瘍縮小) が確認された患者さんの割合と定義されています¹。SPRINT 試験で最も多くみられた副作用は、嘔吐、血中クレアチンホスホキナーゼ増加、下痢、悪心でした¹。さらに、症候性かつ手術不能な PN を有する 3 歳から 18 歳の日本の NF1 患者さんを対象とした第 I 相試験において腫瘍が縮小したと示された点も承認の根拠として評価されました。

SPRINT 試験第 II 相パート層 1 の結果は、*The New England Journal of Medicine* 誌の[オンライン版](#)に掲載されています²。

コセルゴ[®]は、症候性かつ手術不能な PN を有する NF1 小児患者さんの治療薬として、日本に加え、米国や EU 諸国でも承認されており、その他の国および地域においても承認申請が進んでいます。

補足

神経線維腫症 1 型 (NF1) について

神経線維腫症 1 型 (NF1) は遺伝性疾患であり、*NF1* 遺伝子の遺伝的または突然変異により発症します⁹。NF1 は、皮膚表面の腫瘍（皮膚の神経線維腫）、皮膚色素沈着（いわゆる「カフェ・オ・レ斑」）に加え、患者さんの 30~50%にみられる神経鞘の腫瘍（叢状神経線維腫）など、様々な症状を伴います^{5,9}。叢状神経線維腫 (PN) は、外観上の変形、運動機能障害、疼痛、気道の障害、視力障害、膀胱や腸の機能障害などの病的状態を引き起こすことがあります⁴⁻⁸。PN は幼児期に発症し、その重症度は多岐にわたります。NF1 患者さんでは健康な方と比較して、平均余命が最長で 15 年短くなる可能性があるとの報告があります^{5,8-10}。

コセルゴ®について

コセルゴ®（セルメチニブ硫酸塩）は、3 歳以上 18 歳以下の神経線維腫症 1 型 (NF1) の患者さんに対する疼痛や外観上の変形等の臨床症状を有し、重大な合併症のリスクを伴うことなく切除不能な叢状神経線維腫 (PN) の治療薬として、国内で初めて承認された治療薬です¹。コセルゴ®は、細胞増殖に関与する酵素である分裂促進因子活性化プロテインキナーゼ (MEK1 および MEK2) を阻害します¹。NF1 患者さんでは、これらの酵素が過剰に活性化されるため、腫瘍細胞の制御不能な増殖が起こります。これらの酵素を阻害することにより、コセルゴ®は腫瘍細胞の増殖を抑制します¹。

コセルゴ®は、米国、EU 諸国、日本で承認されており、日本、ロシア、スイス、韓国、台湾、オーストラリアでは希少疾病用医薬品指定を受けています。その他の国および地域においても承認申請を進めています。

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、2021 年のアストラゼネカとアレクシオン・ファーマシューティカルズとの統合により生まれた、アストラゼネカグループの希少疾患部門アレクシオン・アストラゼネカ・レアディージェズ（本部：米国マサチューセッツ州ボストン）の日本法人です。アレクシオンは約 30 年にわたり、希少疾患のリーダーとして、患者さんの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症状の患者さんにご家族への貢献に注力しています。アレクシオンは、補体カスケードの新規分子と標的を対象に研究を行っており、血液、腎臓、神経、代謝性疾患、心臓、眼科、および急性期の治療薬を開発し、世界 50 カ国以上で患者さんに提供しています。

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。

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、希少疾患、循環器・腎・代謝疾患、呼吸器・免疫疾患からなるバイオ・医薬品において、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、100 カ国以上で事業を展開しており、その革新的な医薬品は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、ツイッター [@AstraZeneca](https://twitter.com/AstraZeneca)（英語のみ）をフォローしてご覧ください。

References

1. Koselugo (selumetinib) Japanese prescribing information; 2022.
2. Cancer.Net. Neurofibromatosis Type 1. Available at: <https://www.cancer.net/cancer-types/neurofibromatosis-type-1>. Accessed July 2022.
3. National Human Genome Research Institute. About Neurofibromatosis. Available at: <https://www.genome.gov/Genetic-Disorders/Neurofibromatosis>. Accessed July 2022
4. Gross AM, et al. Selumetinib in children with inoperable plexiform neurofibromas. *N Engl J Med*. 2020 Apr 9;382(15):1430-1442. doi: 10.1056/NEJMoa1912735.
5. Hirbe AC, Gutmann DH. Neurofibromatosis type 1: a multidisciplinary approach to care. *Lancet Neurol*. 2014;13:834-43. doi: 10.1016/S1474-4422(14)70063-8.
6. Dombi E, Baldwin A, Marcus LJ, et al. Activity of selumetinib in neurofibromatosis type 1-related plexiform neurofibromas. *N Engl J Med*. 2016;375:2550-2560. doi: 10.1056/NEJMoa1605943.
7. Mayo Clinic. Neurofibromatosis. Available at: <https://www.mayoclinic.org/diseases-conditions/neurofibromatosis/symptoms-causes/syc-20350490>. Accessed July 2022.
8. NHS. Neurofibromatosis Type 1, Symptoms. Available at <https://www.nhs.uk/conditions/neurofibromatosis-type-1/symptoms>. Accessed July 2022.
9. National Institute of Neurological Disorders and Stroke. Neurofibromatosis Fact Sheet. Available at: "What is NF1?" Available at: www.ninds.nih.gov/disorders/patient-caregiver-education/fact-sheets/neurofibromatosis-fact-sheet #3162_2. Last accessed: July 2022.
10. Evans DGR, Ingham SL. Reduced life expectancy seen in hereditary diseases which predispose to early-onset tumors. *Appl Clin Genet*. 2013;6:53-61.

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 船津
TEL : 070-8781-3789 | Email : japancommunications@alexion.com