



## プレスリリース

2020年2月25日

報道関係各位

アレクシオンファーマ合同会社

### 「世界希少・難治性疾患の日（Rare Disease Day）」2020に協賛

－ 5月30日（土）に実施が延期になった東京でのイベント（RDD 2020 Tokyo）で  
協賛セッションを開催予定 －

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、より良い診断や治療による希少・難治性疾患の患者さんの生活の質（QOL）の向上を目指す「世界希少・難治性疾患の日」（Rare Disease Day、以下 RDD）の趣旨に賛同し、昨年に引き続き本年の RDD（RDD Japan 2020）に協賛します。

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>。

RDD Japan 2020 では、日本全国の会場で様々な啓発イベントが開催されています。東京でも2月29日（土）に東京ミッドタウン（六本木）で「RDD 2020 Tokyo」の開催が予定され、研究者、医療者や患者支援団体による基調講演や患者さんの生の声を聴くセッションなどとともに当社の協賛セッションも予定されていました。しかしながら、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、主催者である RDD 日本開催事務局および NPO 法人 ASrid により本イベントを2020年5月30日（土）に延期することが決定されました。当社は引き続き、5月30日に開催の「RDD 2020 Tokyo」において協賛セッションを開催し、本活動を支援いたします。

RDD Japan 2020 の全国イベントの詳細については、公式ホームページをご覧ください。

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

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 RDD Japan 2020 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。

#### 世界希少・難治性疾患の日（Rare disease Day: RDD）について

毎年2月の最終日が RDD で今年は2月29日（土）です。RDD はより良い診断や治療による希少・難治性疾患の患者さんの生活の質の向上を目指して、スウェーデンで2008年から始まった活動です。日本でも RDD の趣旨に賛同し、2010年から2月最終日にイベントを開催しています。今回で11回目を迎える RDD Japan 2020 のテーマは「れあ/RARE いっしょに わかちあ

う「Towards Goals for Enhanced Outcomes」です。昨年の RDD Japan 2019 の公認開催地域は全国 40 を超え、回を重ねるごとに大きな反響を呼んでいます。  
詳しくは <https://rddjapan.info/2020/> をご参照ください。

### 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）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。また、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 2 番目の経口 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 番目の抗 FcRn 療法や 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病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 カ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](mailto:Info.Japan@alexion.com)