



プレスリリース（日本語訳）

2014年12月
アレクシオンファーマ合同会社

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チェシャー）が発表したプレスリリースの日本語訳です。

ソリリス®（エクリズマブ）が重症筋無力症患者さんの治療に対し

日本で希少疾病用医薬品指定を取得

2014年12月10日、コネチカット州チェシャー -アレクシオン・ファーマシューティカルズ（NASDAQ：ALXN）は本日、希少性かつ消耗性の神経障害である重症筋無力症（MG）の患者さんを対象として、ソリリス®（エクリズマブ）が日本の厚生労働省（MHLW）から希少疾病用医薬品指定（ODD）を取得したことを発表しました。MG患者さんでは、神経筋接合部を標的とした抗体による制御不能な補体活性化によって、最終的に全身の多様な筋肉群において顕著な消耗性の筋力低下に至ることがあります^{1,2}。この重大な筋力低下により、患者さんにおいては歩行、明瞭な発語、嚥下のほか、時には正常に呼吸を行う能力が損なわれます。

アレクシオンのエグゼクティブ・バイス・プレジデント兼グローバル R&D 本部長のマーティン・マッケイ, Ph. D. は次のように述べています。「MGを対象とするエクリズマブの希少疾病用医薬品指定は、現在、利用可能な治療法があるにもかかわらず、MGの重度かつ消耗性の症状を引き続き抱えている日本の患者さんが効果的な治療選択肢を切望されている現状から意義のあることであります。エクリズマブは、終末補体経路を特異的に阻害することにより、難治性全身型MGの患者さんにおいてより良好な治療成果を実現する可能性があります。現在、REGAIN試験と命名された当社のレジストレーション試験において患者さんのエントリーを進めており、同試験でのMGに対するエクリズマブの臨床上的有用性評価に対して私たちは大きな期待を抱いています」



厚生労働省は、薬事・食品衛生審議会の答申に基づき、日本において患者数が 5 万人未満であり、医療上特に必要性が高い重篤な疾病を対象とする医薬品や医療機器を希少疾病用として指定します。希少疾病用医薬品指定を取得すると、製薬会社は、医薬品の製造販売承認の優先審査のほか、指定された適応症に関して承認を取得した場合には 10 年間の再審査期間が認められるなど、一定のメリットや支援措置を受けることができます。

アレクシオンは現在、REGAIN 試験 (Eculizumab for **RE**fractory **Gene****AI**zed Myasthe**N**ia Gravis) と呼ばれる難治性全身型 MG の患者さんを対象としたエクリズマブの国際共同、プラセボ対照、レジストレーション試験において患者さんのエントリーを行っています。この試験の詳細情報については、www.clinicaltrials.gov (登録番号：NCT01997229) をご覧ください。

ソリリスは、ファースト・イン・クラスの終末補体阻害剤であり、現在、米国、欧州連合、日本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) 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を受けています。PNH および aHUS は、慢性的な制御不能な補体活性化により引き起こされる 2 つの超希少で致命的な消耗性疾患です。ソリリスは、MG の治療薬としてはいずれの国からも承認を受けておりません。ソリリスは 2014 年に、MG の治療薬として米国および EU から希少疾病用医薬品指定を取得しました。

重症筋無力症 (MG) について

重症筋無力症 (MG) は、自己抗体を原因とする希少かつ消耗性の神経疾患です。自己抗体が神経筋接合部の特異的な標的を認識すると、終末補体の活性化が生涯にわたって制御不能になるため、組織の損傷を生じ、神経と筋線維とのシグナル伝達に支障を来します^{15,16}。MG の患者さんは、まず眼筋の筋力低下を呈し、多くの場合さらに重症化して頭部、体幹、四肢および呼吸筋を含めた全身型に移行します。症状として、眼瞼下垂、腕および脚の脱力、不明瞭な発語、咀嚼困難または嚥下困難、ならびに呼吸困難などで致命的な筋無力症クリーゼに至ることがあります。

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血栓を減少させ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）を阻害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プリ・ガリアン賞を受賞したほか、2009年度仏プリ・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。Solirisに関する詳細な情報（米国での添付文書情報を含む）は、www.soliris.net 上にてご覧いただけます。

重要な安全情報

米国でのソリリスの製品ラベルには次の内容の枠囲み警告が記載されています。「ソリリス投与を受けた患者で生命を脅かし致命的となる髄膜炎菌感染症が発生しています。髄膜炎菌感染症は早期に発見し治療を施さなければ、急速に生命を脅かすか、致命的となる場合があります [FDA 添付文書の警告および注意 (5.1) を参照してください]。補体欠損症患者における髄膜炎菌ワクチン接種に関する最新の米国予防接種諮問委員会（ACIP）勧告に従う必要があります。ソリリスによる治療の遅延が髄膜炎菌感染症発症のリスクより重大である場合を除き、ソリリスの初回投与より少なくとも2週間前に髄膜炎菌ワクチンの接種を患者に施します（髄膜炎菌感染症リスクの管理に関する補足的ガイダンスについては、「FDA 添付文書の警告および注意 (5.1)」を参照してください）。髄膜炎菌感染症の初期兆候について患者をモニタリングし、感染症が疑われるかどうかについて直ちに評価を行います。ソリリスはリスク評価・緩和戦略（REMS）に従った制限プログラムを通じてのみ提供可能です。処方者はソリリスのREMSに従って、プログラムに登録しなければなりません [FDA 添付文書の警告および注意 (5.2) を参照してください]。ソリリスのREMSプログラムへの登録と詳細情報については、1-888-soliris(1-888-765-4747) にお電話ください。」

ソリリスの臨床試験におけるPNH患者の治療で最も多く報告された有害事象は、頭痛、鼻咽頭炎（鼻水）、背部痛、悪心でした。ソリリス投与期間中の抗凝固療法中止の影響はまだ確立していないため、PNH患者に対しソリリスによる治療を施す場合、抗凝固管理を変更



してはなりません。aHUS 患者の場合、ソリリスの臨床試験で最も多く報告された有害事象は、頭痛、下痢、高血圧、上気道感染、腹痛、嘔吐、鼻咽頭炎、貧血、咳嗽、末梢浮腫、悪心、尿路感染、発熱でした。重篤な髄膜炎菌感染症のリスクに関する枠囲み警告を含め、ソリリスの完全な処方情報をご覧ください。

アレクシオンについて

アレクシオンは、生活を一変させる治療薬のイノベーション、開発、商品化を通して、重篤な希少疾患を抱える患者さんへ貢献することを主眼としたバイオ製薬企業です。アレクシオンは、補体阻害領域におけるグローバルリーダーであり、慢性的な補体活性化のコントロール不良を原因とする衰弱性かつ致命的な 2 つの超希少疾患、発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH) および非定型溶血性尿毒症症候群 (aHUS) の治療薬であるソリリス® (エクリズマブ) を開発し、提供しています。

ソリリスは現在、PNH の治療薬として約 50 カ国で aHUS の治療薬として約 40 カ国で承認されています。アレクシオンは、PNH および aHUS 以外の重篤な超希少疾患領域におけるソリリスのその他の潜在的適応の評価など、複数の治療領域にわたる革新的なバイオテクノロジー製品候補の開発を行っています。本プレスリリースとアレクシオンに関する詳細は www.alexionpharma.com をご覧ください。

[ALXN-G]

免責条項

本ニュースリリースには、重症筋無力症 (MG) の治療に対するソリリス® (エクリズマブ) の潜在的な医学的利益と関連する記述など、将来予測に関する記述が含まれています。将来予想に関する記述は、アレクシオンの成果および計画が予想と異なる結果となりうる要因を含みます。そのような要因の例としては、MGを対象としたソリリスの医薬品製造販売承認または販売上の重要な制約に関する規制当局による決定、十分な製造能力準備の遅延、より広範または多様な患者さんにおけるMGを対象としたソリリスの安全性および有効性の結果について、臨床試験の結果によって予測できない可能性、追加試験が求められる規制当局の決定、MGの患者数の推定およびMG患者さんの自然歴に関する観察結果が不正確であるリスクのほか、2014年9月30日を終了日とする期間のForm 10-Qのアレクシオン年次報告書で開示したリスクを含め (ただし、これに限定されません)、証券取引委員会に対するアレクシオンの提出書類で随時開示するその他の多様なリスクがあります。アレクシオンは、法律に基づき義務が生じた場合を除き、この将来予想に関する記述を見直し、本プレスリリースの発表日後に発生した事象または状況を反映する予定はありません。



参考文献

1. Conti-Fine BM, Milani M, Kaminski HJ. Myasthenia gravis: past, present, and future. J Clin Invest 2006;116(11):2843-54.
2. Tüzün E, Huda R, Christadoss P. Complement and cytokine based therapeutic strategies in myasthenia gravis. J Autoimmun 2011;37(2):136-43.

《お問い合わせ》

アレクシオンファーマ合同会社

東京都渋谷区恵比寿一丁目 18 番 14 号 恵比寿ファーストスクエア

Info.Japan@alxn.com