

## 米国プレスリリース（日本語訳）

2010年10月  
アレクシオン ファーマ

アレクシオン・ファーマシューティカルズ社（米国コネチカット州チェシャー）が  
発表しましたプレスリリースの日本語訳です。

### アレクシオン非定型溶血性尿毒症症候群（aHUS）患者を対象とした

#### エクリズマブ（ソリリス®）第2相試験の中間結果を発表

米国腎臓学会年次総会におけるプレゼンテーション向けデータが受理

2010年10月20日（BUSINESS WIRE） -- アレクシオン・ファーマシューティカルズ社（Nasdaq：ALXN）（米国コネチカット州チェシャー）は、本日、非定型溶血性尿毒症症候群（aHUS）患者さんの治療として、エクリズマブ（ソリリス®）を投与する2つの非盲検第Ⅱ相臨床試験の中間解析において、主要評価項目および重要な副次評価項目の目標を達成し、かつ、高い臨床的・統計学的有意性が認められたことを発表しました。極めて希少で致命的な慢性疾患である aHUS は、補体の活性化がコントロールできないために全身の微小血管内に血液凝固を生じ（血栓性微小血管症すなわち TMA）、結果的に脳卒中や心臓発作、腎不全を引き起こし、死に至ります。aHUS 患者さんの約 60%は診断から 1 年以内に透析や腎移植を必要とするか、または死に至ります。これら 2 つの試験は現在も進行中であり、11 月 18 日～21 日にコロラド州デンバーで開催される米国腎臓学会（ASN）年次総会においてデータが発表される予定です。この中間データを要約した抄録は ASN のウェブサイト上で公表されています。

(<http://www.abstracts2view.com/asn>)

## 血漿療法抵抗性患者を対象とした試験

ASN 年次総会の抄録番号 1338「血漿療法に耐性を示す aHUS 患者におけるエクリズマブの安全性および有効性：第Ⅱ相試験中間解析」は、血漿療法に抵抗性を示す、最大 26 週間のエクリズマブ治療を受けた青少年および成人の aHUS 患者さん 17 例を対象とした中間解析の要約です。本試験の主要評価項目は、TMA の指標である血小板数の変化です。この中間解析において、ベースラインと比較してエクリズマブ治療による血小板数の有意な増加 ( $80 \pm 64 \times 10^3 / \mu\text{L}$  ;  $p < 0.0001$ ) が観察されました。重要な副次臨床評価項目についても肯定的な結果を得ました。本試験の最新データは、11 月 20 日土曜日午後 5 時 30 分 (MST : 米国山岳部標準時間) に開催される ASN 年次総会において発表される予定です。

## 長期的血漿療法施行患者を対象とした試験

ASN 年次総会の抄録番号 157「長期的に血漿療法を受けている aHUS 患者におけるエクリズマブの安全性および有効性：第Ⅱ相試験中間解析」は、本試験への参加前に長期間にわたり血漿療法を受けていた青少年および成人の aHUS 患者さん 20 例を対象とした試験の中間結果の要約です。本試験の主要評価項目は、血小板数安定化、血漿療法非施行、および新たな透析非施行によって定義された TMA イベントフリーです。12 週間以上にわたりエクリズマブ投与を受けた患者さん 15 例の中間解析において、87% (95%CI 60~98) の患者さんが有意に TMA イベントフリーを達成しました。重要な副次臨床評価項目についても肯定的な結果を得ました。本試験の中間データは、11 月 19 日金曜日午前 10 時 (MST) に開催される ASN 年次総会のポスターセッションにおいて発表される予定です。

両試験ともに、最新の中間解析結果として報告されました。エクリズマブの最も良く見られた有害事象は貧血、下痢、頭痛、悪心および高血圧でしたが、どちらの試験においても良好な忍容性がみられました。

## 臨床試験について

これら2つの非盲検第Ⅱ相臨床試験では、(i) 血漿療法に抵抗性を示す、あるいは耐性である aHUS 患者さん、または(ii) 長期的に血漿療法を受けている aHUS 患者さんに対する治療としてエクリズマブを投与し、観察しています。本試験には青少年および成人患者さんが参加し、現在も進行中です。

## 小児を対象とした試験

アレクシオンは、小児 aHUS 患者さんを対象としたエクリズマブの非盲検・単群・多施設共同第Ⅱ相試験を米国、欧州連合およびカナダにおいて開始しました。本試験の情報は [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) (識別番号 NCT01193348) に掲載しています。臨床試験への参加に興味をお持ちの医師や家族の皆さんは、eメール ([clinicaltrials@alxn.com](mailto:clinicaltrials@alxn.com)) をお送りいただくか、ウェブサイト ([www.alexionpharma.com](http://www.alexionpharma.com)) の臨床試験のリンクより詳細をご覧ください。

## 非定型溶血性尿毒症症候群 (aHUS) について

aHUS は極めて希少な慢性疾患で、全身の微小血管に血液凝固を形成する血栓性微小血管症 (TMA) を特徴とし、血小板数の減少 (血小板減少症) のほか、腎臓、脳、心臓およびその他の重要臓器に重篤な損傷を引き起こします。aHUS 患者さんの約 60% は診断から 1 年以内に透析や腎移植を必要とするか、または現在受けることができる治療を行っても死に至ります。腎移植を受けた aHUS 患者の大部分は重度の合併症を発症し、90% 超が移植腎を失います。

aHUS は、補体系の活性化をコントロールできないことによって生じます。生体に本来備わっている補体阻害機能が欠損しているか、正常に機能しない場合には、補体系が慢性的に制御できない状態となり、重要臓器において持続的な炎症や血液凝固を引き起こします。aHUS 患者の場合、補体の活性化がコントロールできないことで、結果的に、急激かつ破滅的な生命を脅かす合併症のリスクが継続します。



## ソリリス®について

ソリリス® (エクリズマブ) は、aHUS 患者さんの治療薬としては承認されておらず、臨床試験に参加する患者さんに対しては治験薬として提供されています。ソリリス®は、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) の患者さんに対する治療薬としての承認を受けています。PNH は、赤血球の溶血または破壊を特徴とする衰弱性の希少かつ致命的な血液疾患です。これらの国々で承認される以前は、PNH に対して特異的に利用可能な治療法は存在しませんでした。ソリリス®は、アレクシオンが研究開発から規制当局の承認、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。

現在、20 カ国以上の PNH 患者さんが国立または民間の医療機関を通じてソリリス®治療を受けることができます。ソリリス®は、世界の国々で承認を受けた初の終末補体阻害剤であり、医療革新において待ち望まれたブレークスルーをもたらしました。補体阻害に対するアレクシオンの革新的な取り組みは、製薬業界最高の荣誉に輝いており、生物医学研究に対する評価は、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・ガリアン賞の超希少疾患用医薬品部門を受賞しています。ソリリス®に関する詳細情報については [www.soliris.net](http://www.soliris.net) をご覧ください。

## 重要な安全性情報

ソリリス®は PNH 患者において良好な忍容性を示しています。PNH 患者さんを対象とした臨床試験で最も頻繁に観察された有害事象は、頭痛、鼻咽頭炎 (鼻汁)、背部痛および悪心でした。ソリリス®治療中における抗凝固療法中止の影響は明らかになっていないため、ソリリス®による治療をもって抗凝固管理の変更は推奨されません。

また、ソリリス®の米国の添付文書には以下の警告が記載されています：

「ソリリス®は髄膜炎菌感染症のリスクを高めます。早期に診断・治療を行わないと、髄膜炎菌感染症は急速に重篤化または致命的になることがあります。ソ



リリス®の初回投与を受ける2週間以上前に髄膜炎菌ワクチンの予防接種を行ってください。再接種する場合には、ワクチン使用に関する最新の医学的ガイドラインに従ってください。髄膜炎菌感染症の早期兆候がないか経過観察し、感染症が疑われる場合には直ちに診察してください。必要に応じて抗生物質を投与してください。」

PNHの臨床試験において、ソリリス®による治療とワクチン接種を行ったPNH患者さん196例のうち、2例が重篤な髄膜炎菌感染症を発症しました。すべての患者さんおよびこれを処方する医師に対して、ソリリス®治療を開始する前にPNHレジストリーに登録することをお勧めいたします。PNHレジストリーは、初期教育や継続的教育ならびに安全性に関する新たな知見の検出に向けた長期的モニタリングを含む特別なリスク管理プログラムの一環です。

## アレクシオンについて

アレクシオン・ファーマシューティカルズは、重篤かつ生命を脅かす疾患を抱える患者さんの生活を一変させるような薬剤療法を開発・提供するバイオ製薬会社です。アレクシオンは、血液疾患、腎疾患、移植、その他の炎症性疾患、がんなどさまざまな重篤疾患を有する患者さんを対象とした治療薬の発見、開発および製品化に取り組んでいます。ソリリス®（エクリズマブ）はアレクシオン初の上市製品です。アレクシオンは、エクリズマブのその他の可能性のある適応症や、追加適応症に対するエクリズマブの他剤型の評価を進めています。また、開発初期段階にある抗体医薬品候補の開発も継続しています。本プレスリリースとアレクシオン・ファーマシューティカルズの詳細情報については [www.alexionpharma.com](http://www.alexionpharma.com) をご覧ください。

《お問い合わせ》

アレクシオン ファーマ

東京都渋谷区恵比寿 1-1-39 恵比寿プライムスクエアタワー12階

[Info.Japan@alxn.com](mailto:Info.Japan@alxn.com)