

神経難病新聞

No.32

最近の神経難病に関する薬剤について

国立病院機構とくしま医療センター西病院
薬剤部長 板野 亨

1. はじめに

最近の神経難病に関する薬剤の、最新の新薬、当院で使用している薬剤、帯状疱疹予防ワクチンについて、最後に創薬（治験）と育薬について紹介させていただきます。

2. 薬剤について

1) デュシェンヌ型ジストロフィー治療薬剤のエレビジス点滴静注（一般名：デランジストロゲン モキセパルボベク）

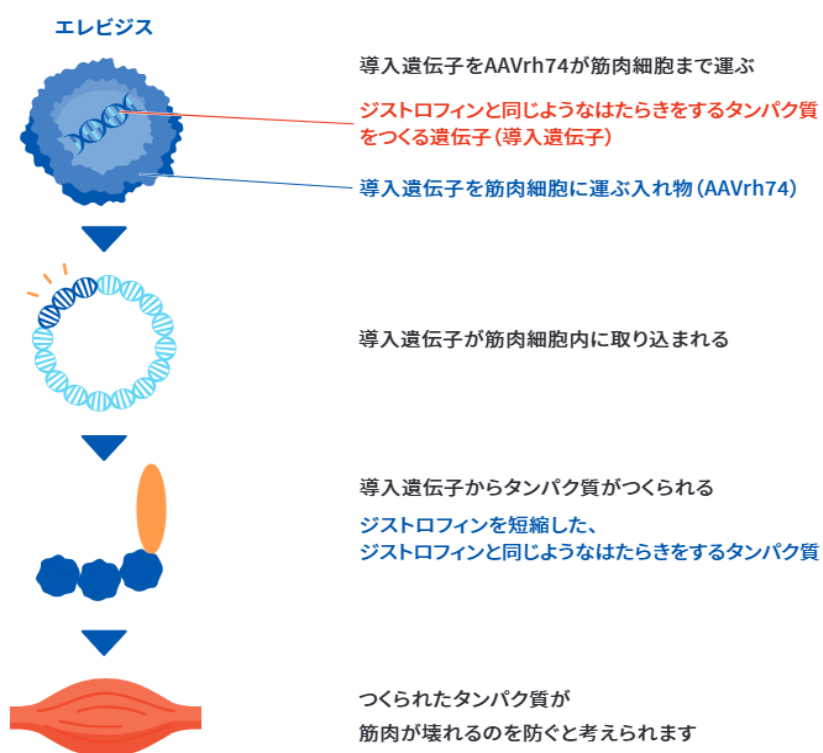
エレビジスは、ジストロフィンと同じようなはたらきをするタンパク質をつくる遺伝子（導入遺伝子）を、病原性のない治療用のアデノ随伴ウイルスである AAV rh74 という入れ物に入れて体内の筋肉細胞に運ぶ遺伝子補充療法です。この導入遺伝子から巨大なジストロフィンを短縮したタンパク質がつくられ、ジストロフィンと同じようにはたらき、筋肉が壊れるのを防ぐと考えられています。使用するためには、遺伝子検査など、様々な検査や、ステロイドの服用も必要で、それ以外にも感染症予防など体調管理が必要です。1回の点滴で病気を招く遺伝子の欠損を補い、筋肉の減少を防ぐ効果が期待されますが、4億円を超える金額になる可能性があるといわれています。



デュシェンヌ型
ジストロフィー
治療薬剤：

エレビジス点滴
静注

写真*



(出典*)

2) 最近当院で使用しているウィフガート点滴静注（一般名：エフガルチギモドアルファ）

本剤は、全身型重症筋無力症の治療として使用されています。作用機序は、FcRn を標的とするアミノ酸残基を改変したヒト IgG 1 抗体の Fc フラグメントであり、内因性 IgG の FcRn への結合を競合阻害することによって、内因性 IgG のリサイクルを阻害して、IgG 分解を促進し、IgG 自己抗体を含む血中 IgG 濃度を減少させます。循環血中の IgG 自己抗体が減少するため、神経筋結合部に存在する抗 AChR 抗体を中心とした IgG 自己抗体も減少すると考えられています。投与間隔は、1 週間間隔で 4 回をサイクルとして、臨床症状に応じて次の治療サイクルを投与します。また、感染症にも十分注意して使用しなければならず、定期的な血液検査なども必要です。高額な医薬品のため、スケジュールを確認しながら、受注発注の医薬品です。体重によって調製方法が異なるため、投与直前

に薬剤部で調製を行っています。本剤は、慢性特発性血小板減少性紫斑病にも適応があります。



写真*

全身型重症筋無力症治療薬：ウィフガート点滴静注

3) 带状疱疹予防ワクチンのシングリックス筋注

带状疱疹は、過去に水痘（水ぼうそう）にかかった時に体の中に潜伏した水痘带状疱疹ウイルスが再活性化することにより、神経に沿って、典型的には左右どちらかに帯状に、時に痛みを伴う水疱（水ぶくれ）が出現する病気です。合併症の一つに皮膚の症状が治った後にも痛みが残る「带状疱疹後神経痛」があり、日常生活に支障をきたすこともあります。

今まで、乾燥弱毒生水痘ワクチンのみで、病気や治療によって、免疫が低下している方は接種出来ませんでした。また、輸血やガンマグロブリンの注射を受けた方は治療後3か月以上、大量ガンマグロブリン療法を受けた方は治療後6か月以上置いて接種が必要でした。シングリックス筋注用は水痘带状疱疹ウイルスに対する免疫を既に持ち、带状疱疹を発症するリスクが高い人において、細胞性免疫及び液性免疫応答を誘導するよう設計・開発され、水痘带状疱疹ウイルス上に存在する糖タンパク質E（gE）抗原とアジュバント

（AS01B）を組み合わせた組換えサブユニットワクチンで、gE抗原特異的なCD4陽性T細胞及び抗体が誘導されます。本剤は免疫状態に関わらず、接種可能というワクチンで、带状疱疹の予防効果が、乾燥弱毒生水痘ワクチンと比較して、効果が高く、持続効果も長く、今まで接種できなかった方にも使用できるという非常に期待されているワクチンです。



带状疱疹予防
ワクチン：
シングリックス
筋注

写真*

3. 最後に

薬剤が製造販売承認されるまでと、承認された後について書かせていただきます。薬剤が開発されるには、非臨床試験（動物実験）でのデータを基に、臨床試験（ヒトでの試験）が行われます。まず、健常人で薬物の安全性が確かめられた後、少数の被験者でどのような用法・用量が有効かどうかを確かめます。その後、多数の被験者で最終的な有効性・安全性が確かめられた後、厚生労働省で審査を受け、問題なければ製造販売の許可をうけることができます。しかし新薬については、治験での情報しかなく、データが限られています。神経難病の薬剤は、生活習慣病の薬剤と比較して、少ない症例数のデータで製造販売承認を申請しています。そのため、未知の副作用情報の収集にも関わっていく必要があります。

薬剤師は、創薬という治験業務を行い、製造販売後調査により育薬として関わっています。皆様方に役立つよう精一杯頑張っていきたいと思いますので、今後どうぞ宜しくお願いいたします。

（*；中外製薬HP、アルジェニクスジャパンHP、GSK HP、添付文書、適正使用ガイド、厚生労働省HP参照）

編集後記

今月号は薬剤部の方に御執筆いただきました。
これまで知ることのなかった治療薬の最新情報（4億円を超える金額の薬）や、とくしま医療センター西病院で使用されている薬のほか、薬剤の承認とその後の話については、「創薬」と「育薬」という考え方を学ばせていただきました。
＜健康寿命推進課 がん・疾病対策担当 係長 A.D＞