



2021年6月23日

各位

エブリスディ、脊髄性筋萎縮症に対し承認を取得

- ・ 乳児から成人にわたり有効性を示した、脊髄性筋萎縮症（SMA）に対し在宅での治療が可能な初の経口薬
- ・ 乳児から成人にわたる I～III 型の SMA に対する 2 本のポジティブなピボタル試験の成績に基づく承認

中外製薬株式会社（本社：東京、代表取締役社長 CEO：奥田 修）は、脊髄性筋萎縮症治療剤「エブリスディ[®]ドライシロップ 60mg」（一般名：リスジプラム）について、「脊髄性筋萎縮症」を効能又は効果として、厚生労働省より製造販売承認を取得したことをお知らせいたします。エブリスディは、2019年3月に希少疾病用医薬品の指定を受けており、2020年10月に承認申請を行いました。

代表取締役社長 CEO の奥田 修は、「脊髄性筋萎縮症に対する初の経口薬として、エブリスディが乳児から成人にわたり広く在宅治療の機会を提供できることを大変嬉しく思います」と述べるとともに、「経口剤のため患者さんの投与負担軽減が期待される本剤を、脊髄性筋萎縮症に対する新たな治療選択肢として一日も早くお届けできるよう、発売に向けた準備を進めてまいります」と語っています。

今回の承認は、症候性の I 型 SMA の乳児を対象に実施された FIREFISH 試験、ならびに II 型および III 型 SMA の小児および若年成人を対象に実施された SUNFISH 試験の成績に基づいています。

※添付文書の記載について

販売名：エブリスディ[®]ドライシロップ 60 mg

一般名：リスジプラム

効能又は効果：脊髄性筋萎縮症

用法及び用量：通常、生後 2 カ月以上 2 歳未満の患者にはリスジプラムとして、0.2mg/kg を 1 日 1 回食後に経口投与する。通常、2 歳以上の患者にはリスジプラムとして、体重 20kg 未満では 0.25mg/kg を、体重 20kg 以上では 5mg を 1 日 1 回食後に経口投与する。

【参考情報】

リスジプラムが脊髄性筋萎縮症に対する希少疾病用医薬品に指定（2019年3月27日発表プレスリリース）

https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20190327150001_831.html

・SUNFISH 試験

ロシュ社、2～25 歳の II 型または III 型脊髄性筋萎縮症（SMA）において運動機能の改善・維持を示す Evrysdi™（リスジプラム）の 2 年データを発表（2021 年 3 月 19 日発表プレスリリース）

https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20210319170000_1091.html

・FIREFISH 試験

Evrysdi（リスジプラム）、乳児の I 型脊髄性筋萎縮症（SMA）において継続して運動機能および生存の改善・維持を示す（2021 年 4 月 21 日発表プレスリリース）

https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20210421150000_1104.html

エブリスディについて

エブリスディは、SMN（survival motor neuron）タンパクの欠損につながる 5 番染色体の変異によって引き起こされる、SMA を治療するためにデザインされた SMN2 スプライシング修飾剤です。SMN タンパクレベルを増加させ、維持することで SMA を治療するよう設計されています。SMN タンパクは全身に見られ、運動神経と運動機能の維持に重要です。2020 年 8 月に米国で、2021 年 3 月に欧州で承認を取得しています。

脊髄性筋萎縮症（SMA）について

SMA は、遺伝性の神経筋疾患であり、脊髄の運動神経細胞の変性によって筋萎縮や筋力低下を示します¹。乳幼児では最も頻度の高い致死的な遺伝性疾患です²。乳児期から小児期に発症する SMA の患者数は 10 万人あたり 1～2 人です³。SMA の原因遺伝子は SMN 遺伝子で、SMN1 遺伝子の機能不全に加え、SMN2 遺伝子のみでは十分量の機能性の SMN タンパクが産生されないため発症する疾患です⁴。

上記本文中に記載された製品名は、法律により保護されています。

出典：

- 1 Farrar MA and Kiernan MC. The genetics of spinal muscular atrophy: progress and challenges. *Neurotherapeutics*. 2015;12:290-302.
- 2 Cure SMA. About SMA. 2018. Available from: <http://www.curesma.org/sma/about-sma/>. Accessed June 2021.
- 3 難病情報センター. Available from: <https://www.nanbyou.or.jp/>. Accessed June 2021.
- 4 Kolb SJ and Kissel JT. Spinal muscular atrophy. *Neurol Clin*. 2015;33:831-46.

以上