



2021年8月12日

各位

脊髄性筋萎縮症治療剤、「エブリスディドライシロップ 60mg」発売のお知らせ

- ・ 乳児から成人にわたり有効性を示したエブリスディを、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として発売

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」（SMA：spinal muscular atrophy）を効能又は効果として、本年6月23日に製造販売承認を取得した脊髄性筋萎縮症治療剤「エブリスディ[®]ドライシロップ 60mg」について、本日薬価収載され、販売を開始したことをお知らせいたします。

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であるエブリスディを本日発売できることを大変嬉しく思います」と述べるとともに、「エブリスディは、乳児から成人までの広い年齢層で有効性を示しており、経口剤のため在宅治療が可能です。SMAの方々のご家族の皆様にも、新たな治療選択肢によるこれまでにない価値をお届けできるよう、適正使用の推進に努めてまいります」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。

【参考情報】

エブリスディ、脊髄性筋萎縮症に対し承認を取得（2021年6月23日発表プレスリリース）

https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20210623170000_1118.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

※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：リスジブラム

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ブラムとして、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ブラムとして、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。

承認日：2021 年 6 月 23 日

薬価基準収載日：2021 年 8 月 12 日

販売開始日：2021 年 8 月 12 日

薬価：エブリスディ[®]ドライシロップ 60mg 974,463.70 円／1 瓶

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 August 2021.
- 3 難病情報センター. Available from: <https://www.nanbyou.or.jp/>. Accessed August 2021.
- 4 Kolb SJ and Kissel JT. Spinal muscular atrophy. *Neurol Clin*. 2015;33:831-46.

以上