

2025 年 9 月 24 日

各 位

アバスチン、神経線維腫症Ⅱ型に対する適応拡大申請

- ・ 医師主導の国内第Ⅱ相臨床試験の成績に基づく適応拡大申請
- ・ 治療選択肢が限定的であり難治性の希少疾患である神経線維腫症Ⅱ型に対し、承認されれば、アバスチンは世界初の治療薬となる見込み

中外製薬株式会社（本社：東京、代表取締役社長 CEO：奥田 修）は、抗悪性腫瘍剤／抗 VEGF※¹ ヒト化モノクローナル抗体「アバスチン®点滴静注用 100mg/4mL、同 400mg/16mL」〔一般名：ペバシズマブ（遺伝子組換え）〕（以下、アバスチン）について、神経線維腫症Ⅱ型（neurofibromatosis type 2：NF2）に対する適応拡大の申請を、8 月 29 日、厚生労働省に行いましたのでお知らせいたします。

今回の適応拡大申請は、NF2 に対し、アバスチンの有効性および安全性を評価した医師主導の国内第Ⅱ相臨床試験である BeatNF2 試験の成績に基づいています。

BeatNF2 試験について

BeatNF2 試験（jRCT2080224914）は、遺伝性の難病である NF2 を対象に、アバスチンの有効性と安全性を評価した、医師主導の多施設共同国内第Ⅱ相プラセボ対照二重盲検無作為化臨床試験です。本試験では、62 名の患者さんをアバスチン投与群およびプラセボ群に分け、治療開始 24 週時点の聴力改善効果を比較しました。24 週以降、48 週までは両群ともアバスチンの投与が行われました。主要評価項目は「治療開始 24 週時点でのベースラインとの比較による、最高語音明瞭度※² による評価に基づく聴力改善患者の割合」です。副次的評価項目は 12、36、48 週時点の最高語音明瞭度、腫瘍体積、純音聴力検査、聴性定常反応、NF2 重症度スコア、聴力改善後に再度悪化した患者さんに対する再治療の効果等でした。

※¹ VEGF：Vascular Endothelial Growth Factor（血管内皮増殖因子）

※² 最高語音明瞭度は、言葉の聞き取り能力の指標です。単音節の聞き取りテストで、音の大きさを調整しながら最も正答率が高くなる音量での聞き取りの割合（％）を指します。この数値が高いほど、音が聞こえれば言葉を正確に理解できる能力が高く、補聴器の効果を測る目安にもなります。

神経線維腫症Ⅱ型（NF2）¹ について

NF2 は、左右両側に聴神経腫瘍（前庭神経鞘腫）ができる常染色体優性の遺伝性疾患です。聴神経鞘腫による症状が多く見られ、難聴・めまい・ふらつき・耳鳴などがあります。その他にも脊髄神経鞘腫の症状として、手足のしびれ・知覚低下・脱力などがあります。

聴神経鞘腫に対しては経過観察、手術、放射線治療が行われます。良性腫瘍でほとんど成長しない場合もありますが、症状の発生や腫瘍の成長が明らかな場合、手術により腫瘍を摘出するケースもあり、長期的にみると予後に影響を及ぼすことがあります。手術による聴力の温存は難しく、術後に神経障害の合併を伴うリスクも存在します。

海外報告によると発生率は25,000～60,000人に1人の希少疾患であり、国内で2009～2013年に臨床調査個人票を提出した方は約800人でした。多くは10～20代で発症します。

アバスチンについて

アバスチンは、腫瘍の増殖と転移に必要な血管の新生に重要な役割を果たす VEGF に特異的に結合し²、その作用を阻害する抗体医薬品です。国内では2007年6月に発売し、様々ながん種の治療ガイドラインで標準治療薬の一つに位置付けられています。7つの適応症（治療切除不能な進行・再発の結腸・直腸癌、扁平上皮癌を除く切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌、手術不能又は再発乳癌、悪性神経膠腫、卵巣癌、進行又は再発の子宮頸癌、切除不能な肝細胞癌）で承認を取得しています。

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. 難病情報センター「神経線維腫症Ⅱ型（指定難病34）」より一部改変
Available from: <https://www.nanbyou.or.jp/> アクセス日：2025年9月
2. Presta LG, Chen H, O'Connor SJ, Chisholm V, Meng YG, Krummen L, et al. Humanization of an anti-vascular endothelial growth factor monoclonal antibody for the therapy of solid tumors and other disorders. Cancer Res 1997;57:4593-9. [Internet; cited September 2025] Available from: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/9377574/>

以上