

2022年9月8日

寒冷凝集素症で日本初・唯一の治療薬 「エジアイモ®点滴静注 1.1g」 新発売のお知らせ

サノフィ株式会社(本社:東京都新宿区、代表取締役社長:岩屋孝彦、以下「サノフィ」)は、寒冷凝集素症(CAD: Cold Agglutinin Disease)治療薬としてエジアイモ®点滴静注 1.1g(一般名:スチムリマブ(遺伝子組換え)、以下「エジアイモ®」)をこのたび発売しましたので、お知らせいたします。エジアイモ®は寒冷凝集素症に保険適用を有する世界で唯一*の治療薬です。

*2022年8月時点



寒冷凝集素症は自己免疫性溶血性貧血の1つで、重篤な慢性希少血液疾患です。補体とよばれる体の免疫系の一部が自己の正常な赤血球を誤って破壊することで発症し、CAD患者さんには慢性的な貧血、溶血性発作や生活の質(QOL)の低下がみられます。近年、レトロスペクティブな解析により、CAD患者さんでは、血栓塞栓症や若年死のリスクが上昇することも明らかになっています。

エジアイモ®は、CAD患者さんの溶血機構が活性化される原因である免疫系の一部、補体の古典経路のC1sを選択的に抑制する新規の作用機序を持つ薬剤であり、これまで承認された薬剤のなかったCADに対する日本初・唯一の治療薬として発売されます。

国際共同第III相臨床試験であるCARDINAL試験では、主要評価項目が達成され、エジアイモ®の投与によって速やかな溶血抑制や、治療開始後1週間以内における臨床的に意義のある貧血と疲労の改善が示されました。(試験詳細については下段の解説もご参照ください)

本剤発売にあたり、希少血液疾患フランチイズヘッドの笠本 浩は次のように述べています。「寒冷凝集素症初の治療薬エジアイモ®によって、希少血液疾患の患者さんにさらなる貢献ができることと信じています。私たちはこれからも、幅広い治療選択肢の提供を通じて治療のパラダイムシフトを起こし、患者さんへの貢献に繋げていけるよう努力を続けてまいります」

【エジャイモ®点滴静注 1.1g 製品概要】

販売名	エジャイモ®点滴静注 1.1g
一般名	スチムリマブ(遺伝子組換え)
効能又は効果	寒冷凝集素症
用法及び用量	通常、成人にはスチムリマブ(遺伝子組換え)として、1回 6.5g 又は 7.5g を点滴静注する。初回投与後は、1週後に投与し、以後2週間の間隔で投与する。
国内製造販売承認取得日	2022年6月20日

エジャイモ®について

エジャイモ®は、C1s(免疫系における補体の古典経路活性化の第1段階にあるC1複合体に含まれるセリンプロテアーゼ)を標的としたヒト化モノクローナル抗体です。補体古典経路の活性化は、CADにおける溶血の中核となる機構であり、これを阻害することでCADによる溶血の抑制が期待できます。独特の作用機序と高い標的特異性を持つスチムリマブは、補体の古典経路の上流プロセスを選択的に阻害する一方で、補体の第二経路やレクチン経路の免疫監視機能は維持されます。

米国食品医薬品局(FDA)は、本剤を Breakthrough Therapy(画期的治療薬)に指定しました。画期的治療薬の指定は、重篤または生命が脅かされる疾患を対象に開発中の新薬の開発と審査を促進する目的で行われます。画期的治療薬の指定の基準には、臨床上意義のある評価項目の検討で、既存薬を大きく上回る改善をもたらす可能性を示す予備的な臨床エビデンスが得られていることなどの項目があります。米国では2022年2月に製造販売承認を取得しています。

CARDINAL 試験について

CARDINAL 試験は、最近の輸血歴を有するCADの成人患者を対象にスチムリマブの有効性と安全性を検討する目的で行われたピボタル第III相非盲検単一群試験です。CARDINAL 試験はPartAとBで構成されており、スチムリマブ投与開始から26週間までをPartA、26週～最低2年間までの継続時の安全性評価期間をPartBとしました。患者は体重のカテゴリ別に設定した用量(6.5g または 7.5g)のスチムリマブの投与を第0日、第7日に受け、その後は隔週投与を継続しました。

PartAの結果はこちらのリリースをご参照ください([191218_stimulimab_CARDINAL_ASH-j \(sanofi.co.jp\)](https://www.sanofi.co.jp/191218_stimulimab_CARDINAL_ASH-j))。PartBの中間解析では、53週時点で有効性の評価項目であるヘモグロビンは55%、総ビリルビン値は63.6%の患者で正常範囲内でした。また、FACIT 疲労スコアはベースラインの32.5±2.3から53週時点で39.7±1.8と改善傾向がみられました。53週データカットオフ日までの副作用は、37.5%(9/24例)に認められました。治験責任医師により因果関係ありと判断された主な有害事象は、チアノーゼ及び注入に伴う反応(各2名[8.3%])でした。

サノフィについて

サノフィは、人々の暮らしをより良くするため、科学のもたらす奇跡を追求する、というゆるぎない使命を原動力に進み続ける革新的でグローバルなヘルスケア企業です。約100カ国の社員は、医療を変革し、不可能を可能に変えるため、日々研鑽に努めています。私たちは、社会的責任と持続可能性を企業の本質とし、画期的な医薬品や生命を守るワクチンを開発し、世界何百万もの人々に届けていきます。

日本法人であるサノフィ株式会社の詳細は、<http://www.sanofi.co.jp>をご参照ください。