

報道関係各位

ホモ接合体家族性高コレステロール血症（HoFH）治療薬 「エヴキーザ[®]点滴静注液 345mg」新発売のお知らせ

Ultragenyx Japan 株式会社（本社：東京都江東区、代表取締役社長：桐谷 忠）は、ホモ接合体家族性高コレステロール血症（HoFH）に対する治療薬「エヴキーザ[®]点滴静注液 345mg」（一般的名称：エビナクマブ（遺伝子組換え）、以下「エヴキーザ」）について、本日、4月17日に薬価収載され、発売したことをお知らせします。

HoFHは、極めて稀な遺伝性疾患であり、重度の高コレステロール血症（血清総コレステロール値が、>450mg/dL）が引き起こされることで、早発性の心血管系疾患や未治療の患者における若年死亡に結び付くことがあります。日本では、HoFHは指定難病のひとつとされ、2022年度の特定疾患医療受給者証保持者は398例と報告されています^{*1}。

HoFHは食事療法、LDLアフェレーシスや脂質低下薬による治療が行われます。しかし、HoFH患者さんは現在の治療法での効果が十分でないことも多く、LDL-C値をコントロールする新たな治療選択肢が求められていました。

エヴキーザは、脂質代謝において重要な役割を果たすタンパク質であるアンジオポエチン様タンパク質3（ANGPTL3）^{*2}に結合し、その機能を阻害する初めての遺伝子組換えヒトモノクローナル抗体です。エヴキーザによるANGPTL3の阻害作用は、LDL受容体の有無と関係なくLDL-C値を低下させます。

本剤の発売について、大阪医科薬科大学 循環器センター 斯波 真理子特務教授は次のように述べています。

「この難治性疾患を持つ私の患者で他の患者や家族の声を代弁する立場の方は、“HoFH患者の中には、日々の治療の負担に苦しみ、また治療の効果が十分にあらわれていない方も少なくない。よりよい治療に向けて選択肢が増えることは、患者にとって大きな希望になる”と期待を寄せています」

Ultragenyx Japanは、エヴキーザを新たな治療選択肢として一人でも多くのHoFH患者さんにお届けできるよう尽力してまいります。

本剤は、日本人を含む12歳以上のHoFH患者さんを対象にした国際共同第Ⅲ相試験（R1500-CL-1629試験）および5歳以上11歳以下のHoFH患者を対象にした臨床試験（R1500-CL-17100試験）等の結果に基づき、2024年1月18日に製造販売承認を取得しました。なお、エヴキーザは日本、米国、EU、イギリスおよびカナダで承認されています。



エヴキーザは、米国ではRegeneron Pharmaceuticals, Inc.が開発、発売しており、Ultragenyx Pharmaceutical Inc.は、米国以外の国でのエヴキーザの製造販売の権利を有しています。

エヴキーザ点滴静注液345mg製品概要*

販売名	エヴキーザ点滴静注液345mg
一般的名称	エビナクマブ（遺伝子組換え）
効果又は効能	ホモ接合体家族性高コレステロール血症
用法および用量	通常、エビナクマブ（遺伝子組換え）として15mg/kgを4週に1回、60分以上かけて点滴静注する。
副作用	重大な副作用として、Infusion reaction（4.8%）があり、アナフィラキシー、注入部位そう痒感を含むInfusion reactionがあらわれることがあるので、異常が認められた場合には、注入速度の減速、エヴキーザの投与を中断または中止し、適切な処置を行ってください。
製造販売承認日	2024年1月18日
薬価基準収載日	2024年4月17日

*：日本でのエヴキーザの製品情報は医療従事者専用のウェブサイト<https://www.ultragenyx.com/jp/>にてご覧いただくことが出来ます。

Ultragenyxについて

Ultragenyx Pharmaceutical Inc. は、重篤な希少遺伝子疾患および超希少遺伝子疾患の治療のための新しい治療法を患者さんに提供することに特化したバイオ医薬品企業です。アンメットメディカルニーズが高く、疾患のメカニズムが明らかで、かつ原疾患に対して承認された治療法が未だ無い疾患に対処することを目的に、承認された医薬品と治療薬候補の多様なポートフォリオを構築してきました。

同社は、希少疾患治療薬の開発と商業化の経験を持つ経営陣によって率いられています。その戦略は、緊急を要する患者さんに安全で効果的な治療法を提供することを目標とし、時間効率とコスト効率の高い医薬品開発を前提としています。詳しい情報は、同社のウェブサイト <https://www.ultragenyx.com/>、Ultragenyx Japanについては、<https://www.ultragenyx.com/jp/> をご覧ください。

参考文献

* 1： 難病情報センターWEBサイト <https://www.nanbyou.or.jp/entry/5354>

脚注

* 2： アンジオポエチン様タンパク質3（ANGPTL3）は肝臓で合成される血中タンパク質で、リポタンパクリパーゼ（LPL）及び血管内皮リパーゼ（EL）を阻害することにより脂質代謝の調節に重要な役割を果たします

本件に関する報道関係者の皆様からのお問い合わせ先：

Ultragenyx Japan 株式会社 広報事務局

（株式会社ジャパン・カウンセラーズ内）

メールアドレス：ultragenyx_pr@jc-inc.co.jp