



2024年5月16日  
Ultragenyx Japan 株式会社

報道関係各位

**Ultragenyx Japan、ホモ接合体家族性高コレステロール血症  
(HoFH) を患う5歳未満の子供の治療に向けた、  
エブキーザ® (エビナクマブ) の添付文書の改訂を発表**

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、2024年5月10日付で、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「エブキーザ®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「エブキーザ」）の添付文書が改訂され、5歳未満又は体重 15 kg 未満の子供にも処方可能となったことをお知らせいたします。日本は、エブキーザの添付文書に5歳未満の患者への投与をサポートするデータを記載した最初の国となります。

Ultragenyx Japan は、2024年1月18日付で HoFH の適応で製造販売承認を取得しました。その際、5歳未満または体重 15 kg 未満の患者における有効性、安全性は確立していないとの注意が記載されていました。今回この記載が添付文書から削除されたことにより、エブキーザは、HoFH による危険なレベルの低比重リポタンパクコレステロール（LDL-C）を低下させる、日本において初のアンジオポエチン様タンパク質 3（ANGPTL3）<sup>\*1</sup> 阻害薬となりました。

HoFH は、極めて稀な遺伝性疾患であり、早発性の心血管系疾患や未治療の患者における死亡に結び付くことがあります。HoFH 患者は、食事療法、アフェリシス療法（機器により血液をろ過し、LDL-C を除去する治療法）、あるいは現在利用できる脂質低下薬による治療では効果が十分に得られないことが多いため、LDL-C レベルの制御のため他の治療法を必要としています。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\*<sup>2</sup>



添付文書の変更について、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。「できるだけ早期に LDL-C レベルを下げることは、すべての HoFH 患者さんにとって重要ですが、重篤で潜在的に生命を脅かす心臓イベントのリスクがある幼児の患者さんにとっては特に重要です。」

5 歳未満または体重 15 kg 未満の患者へのエヴキーザの処方をサポートする今回の添付文書改訂は、過去の臨床試験のデータを用いたモデリングおよびシミュレーションに基づいています。これは、HoFH が極めて稀な疾患であり、これらの患者に対する臨床試験の実施が困難であったためです。5 歳以上の HoFH 患者の臨床データを用いて構築した母集団薬物動態解析及び母集団薬物動態／薬力学解析により、生後 6 カ月以上 5 歳未満の HoFH 患者にエヴキーザ 15 mg/kg を 4 週に 1 回反復静脈内投与したときの暴露量及び薬力学的作用を推定しました。

エヴキーザは現在、米国、カナダ、日本、イタリア、オランダ、ルクセンブルク、ドイツで保険適用となり、HoFH 患者への処方が可能となっています。また、欧州および中東の複数の国においても、早期承認制度により利用可能となっています。

### **ホモ接合体家族性高コレステロール血症（HoFH）について**

HoFH は深刻な遺伝性高コレステロール血症であり、世界中で 25 万人に 1 人が患者となっています。HoFH は、家族性高コレステロール血症（FH）の原因となる遺伝子の 2 つのコピーがそれぞれ両親から遺伝した場合に発生し、LDL-C（悪玉コレステロール）が危険なレベル（>400 mg/dL）まで上昇します。HoFH 患者は若いうちから早発性の動脈硬化や心疾患のリスクを抱えることとなります。

### **エヴキーザ®（エビナクマブ）について**

エヴキーザの有効成分エビナクマブは、ANGPTL3 と呼ばれる体内のタンパク質に特異的に結合し、作用を阻害します。ANGPTL3 はコレステロールレベルの制御に関与しており、この作用を阻害することで血中コレステロールを低下させます。エヴキーザは 4 週に 1 回、60 分以上かけて点滴静注します。

エヴキーザを創薬・開発したのは Regeneron Pharmaceuticals 社で、米国では一般的名称「evinacumab-dgnb」（dgnb は FDA の発行する「生物医薬品の名称に関する指針」に準拠し



た接尾辞)で HoFH 用医薬品として販売されています。Ultragenyx は、米国以外での HoFH 用医薬品としてのエブキーザの販売を担当しています。

### エブキーザ<sup>®</sup>点滴静注液 345mg 製品概要\*

販売名	エブキーザ点滴静注液 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、副作用の重大度に応じて注入速度の減速、エブキーザの投与を中断又は中止し、兆候や症状が解消するまで適切な処置を行ってください。
承認日	2024 年 1 月 18 日
薬価収載日	2024 年 4 月 17 日

\* : 日本におけるエブキーザの製品情報は、医療従事者専用のウェブサイトでご覧いただけます :

<https://www.ultragenyx.com/jp/>

## Ultragenyx について

Ultragenyx 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をご覧ください。 [www.ultragenyx.com](http://www.ultragenyx.com)



**参考**

\*1: 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) およ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。

**脚注**

\*2: 難病情報センターWEB サイト <https://www.nanbyou.or.jp/entry/5354>

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**

メールアドレス：[ultragenyx\\_pr@jc-inc.co.jp](mailto:ultragenyx_pr@jc-inc.co.jp)