

抗 FcRn 抗体フラグメント・ヒアルロン酸分解酵素配合製剤

「ヒフデュラ®配合皮下注」

慢性炎症性脱髄性多発根神経炎（CIDP）に対する適応追加の承認取得

～CIDP の治療において 25 年ぶりの新規作用機序の治療薬～

アルジェニクスジャパン株式会社（本社：東京都港区、代表取締役社長：ヘルマン・ストレンガー）は、本日 12 月 27 日、抗胎児性 Fc 受容体（FcRn）抗体フラグメント・ヒアルロン酸分解酵素配合製剤「ヒフデュラ®配合皮下注」〔エフガルチギモド アルファ（遺伝子組換え）・ボルヒアルロニターゼ アルファ（遺伝子組換え）配合皮下注製剤、以下、ヒフデュラ〕について、慢性炎症性脱髄性多発根神経炎（CIDP）に対する効能・効果及び用法・用量に関する製造販売承認事項一部変更承認を取得いたしました。

この度の承認取得は、ヒフデュラの CIDP に対する有効性および安全性を評価した、ADHERE 試験及びその継続試験から得られた肯定的な結果に基づいております。本試験でヒフデュラは運動機能、生活動作、筋力の改善を含む臨床症状の改善、並びに長期的に臨床的悪化（再発）のリスクを減少させる有効性が期待できることを示し、安全性については、臨床上大きな問題となる懸念は認められなかったことが示されました。

ヒフデュラは、「ウィフガート®点滴静注 400mg」〔エフガルチギモド アルファ（遺伝子組換え）点滴静注製剤、以下、ウィフガート〕の有効成分に、浸透促進剤ボルヒアルロニターゼ アルファ（遺伝子組換え）を配合した皮下投与製剤で、在宅等での自己投与が可能な製剤です。エフガルチギモド（ウィフガート／ヒフデュラ）として、全身型重症筋無力症（gMG）、慢性特発性血小板減少性紫斑病（慢性 ITP）に続き、本邦において CIDP は 3 つ目の適応症となります。

今回の承認取得について、アルジェニクスジャパン株式会社の代表取締役社長であるヘルマン・ストレンガーは次のように述べています。「この度、CIDP の適応を取得できたことをとても嬉しく思っております。CIDP の治療において、国内で最初のグロブリン製剤が承認されてから、25 年ぶりのイノベーションだと言えます。治験に協力いただいた患者さんや医療従事者の皆様に深く感謝しております。CIDP は疲労感、四肢の筋力低下・感覚障害が生じることがあり、生涯にわたり患者さんの生活に影響を及ぼします。ヒフデュラは在宅での自己投与が可能な皮下注製剤であることから、CIDP 患者さんの通院負担が軽減されることが期待されます。ヒフデュラを通じて一人でも多くの CIDP 患者さんの治療に貢献できることを願っております。」

ヒフデュラは 2024 年 1 月に gMG の治療薬として承認され、同年 4 月に発売されました。また、ヒフデュラは 2024 年 3 月に CIDP の治療薬として、厚生労働省から希少疾病用医薬品として指定されています。

ADHERE 試験について

ADHERE 試験は、CIDP の治療薬としてヒフデュラの有効性及び安全性を評価する無作為化、二重盲検、プラセボ対照、多施設国際共同試験です。ADHERE 試験には、未治療（過去 6 ヶ月以上 CIDP の治療を受けていない、または治療歴がない）または、免疫グロブリン療法もしくはコルチコステロイドの投与を受けている CIDP の成人患者さん、322 例が登録されました。322 例に非盲検でヒフデュラを投与し、臨床症状が改善した患者さんとして 221 例がプラセボ対象二重盲検期に移行し、臨床的悪化（再発）のリスクをプラセボと比較検討しました。

ウィフガートおよびヒフデュラについて

ウィフガート〔エフガルチギモド アルファ（遺伝子組換え）〕は、FcRn との親和性を増大させるように設計されたヒト IgG1 の抗体フラグメントの改変体です。FcRn は IgG 抗体の分解を妨げる上で中心的な役割を担っています。ウィフガートは、内因性 IgG の FcRn への結合を競合阻害することによって、内因性 IgG のリサイクルを阻害して、IgG 分解を促進し、IgG 自己抗体を含む血中 IgG 濃度を減少させます¹²。ウィフガートは、gMG の治療薬として、日本で 2022 年 1 月に承認され、同年 5 月に発売されました。また、2024 年 3 月に慢性 ITP に対する適応が追加されました。

ヒフデュラは、エフガルチギモド アルファ（遺伝子組換え）と浸透促進剤ボルヒアルロニダーゼ アルファ（遺伝子組換え）を配合した固定用量の皮下投与製剤です。日本で gMG の治療薬として 2024 年 1 月に承認、同年 4 月に発売され、同年 12 月に CIDP に対する適応が追加されました。ヒフデュラは米国において、抗 AChR 抗体陽性の成人患者さんにおける gMG の治療薬として、VYVGART® Hytrulo の製品名で 2023 年 6 月に承認され、2024 年 6 月に CIDP に対する適応が追加されました。

慢性炎症性脱髄性多発根神経炎（CIDP）について

CIDP は末梢神経系の希少かつ重度な自己免疫疾患です。この疾患の病態生理はまだ解明されていませんが、IgG 自己抗体による末梢神経の損傷が主病態であることが示唆されています。CIDP 患者さんは、疲労感、四肢の筋力低下、感覚障害等を経験し、時間の経過とともに症状の悪化、寛解、再発を繰り返すことがあり、日常生活に必要な身体機能を著しく損ないます。

アルジェニクスジャパン株式会社について

アルジェニクスジャパン株式会社は、ベルギー・ゲント市に本拠を置くアルジェニクス BV の日本法人です。アルジェニクスは免疫領域に特化したグローバル医薬品企業で、深刻な自己免疫疾患に苦しむ人々の生活の向上に貢献することに取り組んでいます。独自の免疫学イノベーションプログラム（IIP）を介して主要な学術研究者らと協業し、免疫学領域における画期的な発見から世界的な新規抗体医薬品ポートフォリオを生み出しています。

アルジェニクスは、米国、日本、イスラエル、EU、英国、カナダ、スイス、中国で初めて承認された抗 FcRn 抗体フラグメント製剤を開発および発売して参りました。当社は更に、多くの重篤な自己免疫疾患に対してエフガルチギモドを評価していることに加え、注力している治療領域で、複数の早期の研究開発を進めております。

アルジェニクスジャパンの詳細については、www.argenx.jp をご覧ください。

参考文献：

1. Ulrichs P, et al: J Clin Invest. 2018; 128(10): 4372-4386
2. Vaccaro C, et al: Nat Biotechnol. 2005; 23(10):1283-1288

本件に関するお問い合わせ先

アルジェニクス ジャパン株式会社 広報担当

TEL :080-2233-2337 E-mail : jp.communication@argenx.com

※本プレスリリースは、国内の報道関係者の方々を対象に、アルジェニクスの企業活動に関する情報を提供しています。一般の方に対する情報提供を目的としたものではありませんのでご了承ください。また、本プレスリリースには、医療用医薬品や開発品の情報を含みますが、これらは医療用医薬品や開発品のプロモーションや広告を目的とするものではありません。

<参考資料>

「ヒフデュラ®配合皮下注」

慢性炎症性脱髄性多発根神経炎に対する適応の概要

一般名：

エフガルチギモド アルファ（遺伝子組換え）・ボルヒアルロニターゼ アルファ（遺伝子組換え）

効能又は効果：

慢性炎症性脱髄性多発根神経炎

用法および用量：

通常、成人には本剤 1 回 5.6mL（エフガルチギモド アルファ（遺伝子組換え）として 1,008mg 及びボルヒアルロニダーゼ アルファ（遺伝子組換え）として 11,200 単位）を週 1 回皮下投与する。

製造販売承認事項一部変更承認取得日：

2024 年 12 月 27 日

製造販売元：

アルジェニクスジャパン株式会社

以上