

抗 FcRn 抗体フラグメント製剤「ウィフガート®点滴静注 400mg」

一次性免疫性血小板減少症に対する適応追加の承認申請

～世界に先駆けて日本で最初に承認申請～

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6月13日、抗胎児性Fc受容体（FcRn）抗体フラグメント製剤「ウィフガート®点滴静注 400mg」[一般名：エフガルチギモド アルファ（遺伝子組換え）、以下、ウィフガート]について、一次性免疫性血小板減少症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の申請を提出いたしましたのでお知らせいたします。

この度の承認申請は、ウィフガートの一次性免疫性血小板減少症に対する有効性および安全性を評価した、第3相国際共同試験（ADVANCE 試験）から得られた肯定的な結果に基づいており、アルジェニクスにおいて、世界に先駆けて日本で最初に適応追加の承認申請を行うことになりました。一次性免疫性血小板減少症の適応追加が承認されれば、全身型重症筋無力症に続き、2つ目の適応症となります。

一次性免疫性血小板減少症は、免疫グロブリン G（IgG）自己抗体が血小板を破壊して、血小板減少をきたす自己免疫疾患であり、過剰な出血及び挫傷のリスクを増大させます。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^{1,2}。

今回の承認申請について、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、アルジェニクスジャパンがグローバルの中で最初に日本で、一次性免疫性血小板減少症の適応追加を承認申請できましたことを嬉しく思っております。治験に協力いただきまし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。できるだけ早く、ウィフガートが一次性免疫性血小板減少症の患者さんの治療に貢献できる日がくることを願っております。」

ウィフガートは、「全身型重症筋無力症（ステロイド剤又はステロイド剤以外の免疫抑制剤が十分に奏効しない場合に限る）」を効能又は効果とする治療薬として、2022年1月に承認され、同年5月に発売された抗 FcRn 抗体フラグメント製剤です。ウィフガートは2020年6月に全身型重症筋無力症の治療薬として、また、2022年12月に慢性特発性血小板減少性紫斑病の治療薬として、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。

第3相 ADVANCE 試験について

第3相 ADVANCE 試験は、一次性免疫性血小板減少症の成人患者さんを対象に、ウィフガート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、多施設共同、国際共同試験です。北米、欧州、及び日本における成人の一次性免疫性血小板減少の患者さん、131名が主要試験として本試験に登録され、治療薬またはプラセボを合計24週間投与されました。

ウィフガートについて

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^{1,2}。

一次性免疫性血小板減少症について

免疫性血小板減少症は、免疫グロブリン G (IgG) 自己抗体が血小板を破壊して、血小板減少をきたす自己免疫疾患であり、過剰な出血及び挫傷のリスクを増大させます。重度の場合、出血事象が頻繁に起こり、まれに貧血や脳出血を起こすことがあります。また、免疫性血小板減少症は消耗性疲労と関連しており、不安、恐怖、抑うつなど、メンタルヘルスに重大な影響を及ぼします。

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。