

## 抗 FcRn 抗体フラグメント製剤「ウィフガート®点滴静注 400mg」の 全身型重症筋無力症に対する製造販売承認を取得

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、抗 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、全身型重症筋無力症（ステロイド剤又はステロイド以外の免疫抑制剤が十分に奏効しない場合に限る）を効能又は効果として製造販売承認を取得しましたのでお知らせいたします。

ウィフガートは、全身型重症筋無力症（gMG）に対する治療薬として日本で初めて承認された抗胎児性 Fc 受容体（FcRn）抗体フラグメント製剤です。

全身型重症筋無力症は、IgG 自己抗体が神経と筋肉の間の伝達を妨害し、消耗性で生命を脅かす可能性のある筋力低下を引き起こす稀な慢性神経筋疾患です。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<sup>1,2</sup>。

今回の承認は、主に [The Lancet Neurology](#) の 2021 年 7 月号に掲載された国際共同第 III 相 ADAPT 試験の結果に基づいています<sup>3</sup>。ADAPT 試験では、抗アセチルコリン受容体（AChR）抗体陽性 gMG 患者の初回サイクルにおける MG-ADL レスポンダー<sup>\*1</sup>の割合は、ウィフガート群がプラセボ群と比較して統計学的に有意に高い結果を示し（68%対 30%、 $p < 0.0001$ ）、主要エンドポイントを達成しました。最も重要な副次エンドポイント、QMG レスポンダー<sup>\*2</sup>の割合も、ウィフガート群がプラセボ群と比較して統計学的に有意に高い結果を示しました（63%対 14%、 $p < 0.0001$ ）。

<sup>\*1</sup>：MG-ADL (Myasthenia Gravis Activities of Daily Living)レスポナーは、初回サイクルの最終投与から 1 週間後までに MG-ADL 総スコアが、ベースラインに比べて 2 点以上減少し、かつその減少が連続して 4 週間以上維持された患者と定義されました。

<sup>\*2</sup>：QMG (Quantitative Myasthenia Gravis)レスポナーは、初回サイクルの最終投与から 1 週間後までに QMG 総スコアが、ベースラインに比べて 3 点以上減少し、かつその減少が連続して 4 週間以上維持された患者と定義されました。

ADAPT 試験ではウィフガートの安全性プロファイルも確認されました。ADAPT 試験において最も多くみられた有害事象は、呼吸器感染症（33% 対 プラセボ 29%）、頭痛（32% 対 プラセボ 29%）、尿路感染症（10% 対 プラセボ 5%）でした。

今回の承認について、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。「全身型重症筋無力症に対する既存の治療にもかかわらず、深刻な症状に苦しんでいる患者さんに、新たな治療選択肢をお届けできることを嬉しく思います。治験にご参加およびご協力いただいた皆様に心より感謝申し上げます。ウィフガートが全身型重症筋無力症の患者さんとそのご家族の生活の質の向上に寄与し、笑顔で過ごせる日々につながることを願っています。」

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、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。米国においては、2021年12月17日（米国時間）に、抗AChR抗体陽性の成人患者における全身型重症筋無力症の治療薬として承認されました。欧州では、現在、販売承認申請中で、本年下半期に判断が下されるものとみられます。

### 第III相 ADAPT 試験について

第III相 ADAPT 試験は、26週間のランダム化二重盲検プラセボ対照多施設国際共同試験で、gMG成人患者を対象にウィフガートの有効性と安全性を評価しました。北米、欧州、日本のgMG成人患者計167名が試験に組み入れられました。

患者は、現行のgMG治療薬を継続して服用し、追加投与としてウィフガート群またはプラセボ群に1対1の比率でランダムに割り付けられました。ADAPT試験は、初回サイクル後にさまざまな治療サイクル数で治療を行う個別化治療法を可能にするように設計されました。主要評価項目は、抗AChR抗体陽性患者集団におけるウィフガート群とプラセボ群間の初回サイクルにおけるMG-ADLレスポンスの割合の比較でした。

### 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<sup>1,2</sup>。

### 全身型重症筋無力症について

重症筋無力症(MG)は、IgG自己抗体が神経と筋肉の間の伝達を妨害し、消耗性で生命を脅かす可能性のある筋力低下を引き起こす稀な慢性自己免疫疾患です。全身の筋力低下、易疲労性<sup>3</sup>が出現し、特に眼瞼下垂、複視などの眼の症状をおこしやすいことが特徴です。眼の症状だけの場合は眼筋型、全身の症状があるものを全身型とよんでいます<sup>4</sup>。話したり、飲み込んだり、動いたりすることが困難になる場合もあります。重症化すると呼吸筋の麻痺をおこし、呼吸困難を来すこともあります<sup>4</sup>。

2018年の全国疫学調査によると、日本国内のMG患者数は約29,000人と推定されています<sup>4</sup>。日本では眼筋型MGが全体の約20%と報告されており<sup>5,6</sup>、国内の全身型MGの患者数は全体の80%程度、18,000~24,000人程度と推定されています。

重症筋無力症は厚生労働省より難病指定を受けています（指定難病11）。

### 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、深刻な自己免疫疾患およびがん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る免疫領域に特化したグローバル医薬品企業です。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](http://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
3. Howard JF Jr, et al. Safety, efficacy, and tolerability of efgartigimod in patients with generalised myasthenia gravis (ADAPT): a multicentre, randomised, placebo-controlled, phase 3 trial. Lancet Neurol. 2021; 20(7): 526-536.
4. 公益財団法人難病医学研究財団 難病情報センター
5. Murai H, et al: Clin Exp Neuroimmunol. 2014 :5 :84-91
6. Suzuki S, et al : BMC Neurol. 2014; 14: 142

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 :090-1427-4698 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>

「ウィフガート®点滴静注 400mg」の製品概要

製品名： ウィフガート®点滴静注 400mg  
VYVGART™ for Intravenous Infusion 400mg

一般名： エフガルチギモド アルファ (遺伝子組換え)  
Efgartigimod Alfa (Genetical Recombination)

効能又は効果： 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）

用法及び用量： 通常、成人にはエフガルチギモド アルファ（遺伝子組換え）として 1 回 10mg/kg を 1 週間間隔で 4 回 1 時間かけて点滴静注する。これを 1 サイクルとして、投与を繰り返す。

製造販売承認取得日： 2022 年 1 月 20 日（木）

製造販売元： アルジェニクスジャパン株式会社

以上