



Myozyme の適応、有効性、安全性

Myozyme は現在、世界中の多くの国でポンペ病患者のために市販されています。あなたのような多くの人にとって、ポンペ病の症状に対する治療方法があるという事実だけでも嬉しいニュースです。もちろん、この一生の治療になると思われる Myozyme 治療を始める前に、その資格があるかどうか、この薬の医療費が請求できるかどうかを知っておかなくてはなりません。ポンペ病と診断されていたら、答えはおそらくイエスです。当然ながら、自分や、自分の子供、家族にとって治療がどれほど有効で安全かが気にかかります。Genzyme 社では Myozyme の安全性と有効性を評価するいくつかの臨床試験を行っており、現在も治療の研究を続けています。ここでは、Myozyme 治療の可能性について知り、決定が行えるように情報を提供します。



Q どんな人が Myozyme を使うべきですか？

A Myozyme はポンペ病のための酵素補充療法 (ERT) です。ヨーロッパでは Myozyme のラベルにこう表示されています。「Myozyme はポンペ病 (酸性 α グルコシダーゼ欠損症) と診断された患者の長期酵素補充療法 (ERT) に適応があります。遅発型ポンペ病患者における Myozyme の有効性は立証されていません。」

米国では Myozyme のラベルにこう表示されています。「Myozyme (アルグルコシダーゼ アルファ) はポンペ病 (GAA 欠損症) の患者に適応があります。Myozyme は乳児期に発症した患者において、未治療の過去の対照よりも人工呼吸器非装着生存率を改善することが立証されています。ただ、他のタイプのポンペ病患者への使用は、その安全性と有効性を十分確認する試験が行われていません。」

カナダのラベルは米国のもと同様です。

ポンペ病の別名

酸性 α グルコシダーゼ欠損症、酸性マルターゼ欠損症 (AMD)、グリコーゲン貯蔵障害 (GSD) II 型、糖原病 II 型、およびライソゾーム性 α グルコシダーゼ欠損症。世界のさまざまな地域では、ポンペが「ポンペイ」、「ポンプー」、「ポンピー」などと発音されることもあります。

Q Myozyme の臨床試験の結果はどのようなものですか？

A 乳児とそれより年上のポンペ病患者の両方でいくつかの臨床試験が行われています。これらの多くの試験の結果から Myozyme がヨーロッパ、米国、カナダで承認されました。この試験結果はこれから数年間にさらに多くの国で Myozyme の承認を裏付けるために使われます。

2003 年に始まった重要臨床試験は、Myozyme の有効性と安全性を立証したという点において、特に注目すべき試験です。この試験では、Myozyme を投与した患者の 83% が生後 18 カ月で生存し、侵襲的人工呼吸器を装着しませんでした。これに比べて過去対照群の患者では 2% でした。この試験にはポンペ病の乳児 18 人が登録されました。これらの患者は生後 6 カ月以内に治療を開始しました。Myozyme を投与した患者の約 39% が点滴に関連した反応を発現しましたが、ほとんどが軽度から中程度でした。2 人に重大な点滴反応がありました。

2 回目の臨床試験では、ポンペ病が急速に進行し症状の進んだこれより大きな乳児と幼児 21 人 (生後 6 カ月から 3.5 歳) に、Myozyme 20 mg/kg を 2 週間に 1 回、52 週間投与しました (点滴 26 回)。52 週間後の結果は、未治療の対照群の生存率が 37% であるのに対し、生存率 73% でした。52 週間の治療の後、試験が始まったときに侵襲的人工呼吸器を装着していなかった 10 人の患者のうち 50% がそのままでした。

Myozyme の臨床試験の詳細については、www.clinicaltrials.gov または www.worldpompe.org をご覧ください。

Q Myozyme にはどのような効果がありますか？

A Myozyme を投与したポンペ病の乳児の大半が、心臓機能の改善、さらに成長パラメータの安定や改善を示しました。

治療に対する運動と呼吸の反応はこれよりばらつきがありました。運動の増進を示したポンペ病乳児は、臨床試験の開始時に運動機能の保存が大きく、四頭筋のグリコーゲン含有量が低値でした。運動結果のよい患者ほど成長パラメータ (特に体重) の安定や改善を示す割合が高いという結果が出ています。臨床試験の開始時に測定した運動の結果や特徴に関わりなく、乳児患者の大半が心筋症 (心臓筋の疾患) の好転を示しています。

データ結果は、乳児患者の診断と治療が早いほど、プラスの結果が出る可能性が高いことを示しています。

Q Myozyme は安全ですか？ (治療上の注意も参照)

A Myozyme と他の薬剤にどのような相互関係があるかを立証する正式な試験は行われていません。しかし、Myozyme はヒトの組換え型タンパク質なので、薬物相互作用はないと思われます。

Myozyme について、車の運転や機械の使用能力に関する試験は行われていません。アルコールと Myozyme の相互作用についての試験も行われていません。

Myozyme は絶対に必要な場合を除き、妊娠中に使用できません。アルグルコシダーゼ アルファが母乳に排出されるおそれがあるので、治療中は授乳を止めることをお勧めします。

Myozyme を投与する際はしかるべき医療サポートがいつでも受けられるようにする必要があります。Myozyme の副作用についての詳細は以下のサイトをご覧ください。

米国その他ヨーロッパ以外の国に住んでいる場合

www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.Label_ApprovalHistory

ヨーロッパに住んでいる場合

www.emea.eu.int/Humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm

本発行物は扱っている事柄に関する一般情報を提供するように作成されています。International Pompe Association が医療などの専門サービスを提供していないという理解のもと、International Pompe Association による公共サービスとして本発行物が提供されています。医療は常に変化する科学です。診療においては人的ミスや変更が発生するため、このような複雑な資料の正確さを保証することは不可能です。本発行物の情報については別の情報源、特にかかりつけの医師に確認することが必要です。Myozyme の効果は人によって異なることに留意してください。