

スピラザ®の

ずいこうないとうよ

髄腔内投与について

スピラザによる治療を受ける患者さんご家族様へ



【監修】

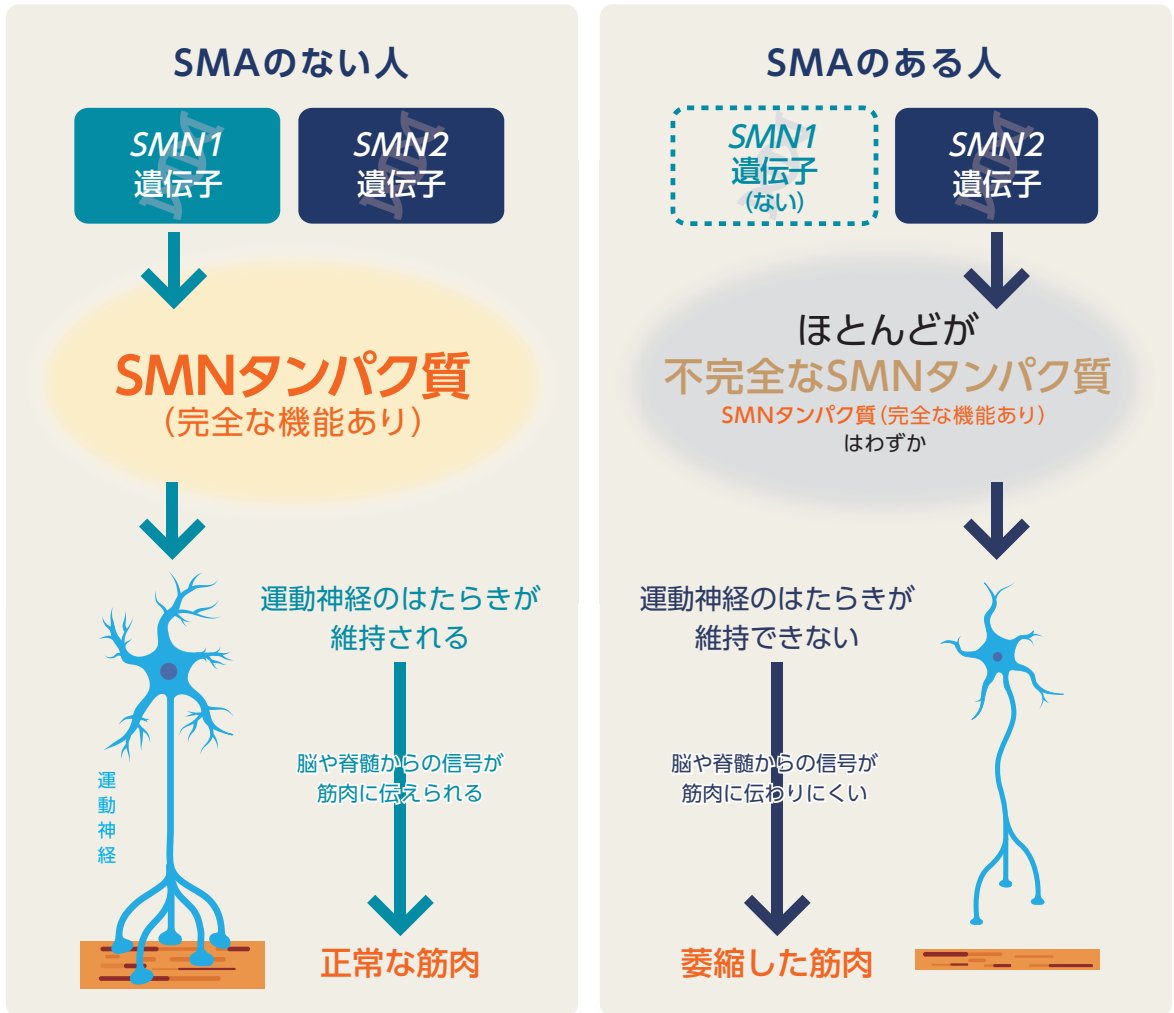
東京女子医科大学附属遺伝子医療センター特任教授・所長

東京女子医科大学名誉教授

齋藤 加代子 先生



せきずいせい きんいしゅくしょう
脊髄性筋萎縮症(SMA)の原因^{1,2}



SMAのない人では、^{ESMN}SMN1遺伝子が、SMNタンパク質をつくっています。
 SMNタンパク質は、運動神経(運動ニューロン)のはたらきを維持しています。
 運動神経は、^{のうせきずい}脳や脊髄からの信号を筋肉に伝える役割を持っています。

SMAのある人では、多くの方がSMN1遺伝子を持っていません*。
 そのため、SMN1遺伝子からはSMNタンパク質をつくることができません。かわりに、^{ESMN}SMN1遺伝子の「バックアップ遺伝子」であるSMN2遺伝子からSMNタンパク質がつくれます。しかし、SMN2遺伝子からつくられるのは、ほとんど(約90%)が不完全なSMNタンパク質です。このため、運動神経のはたらきが維持できなくなります。すると、運動神経をとおした脳や脊髄からの信号が筋肉に伝わらず、筋肉が少なくなったり、力が入らなくなります。呼吸するための筋肉も弱くなった場合は、自力で呼吸することも難しくなります。

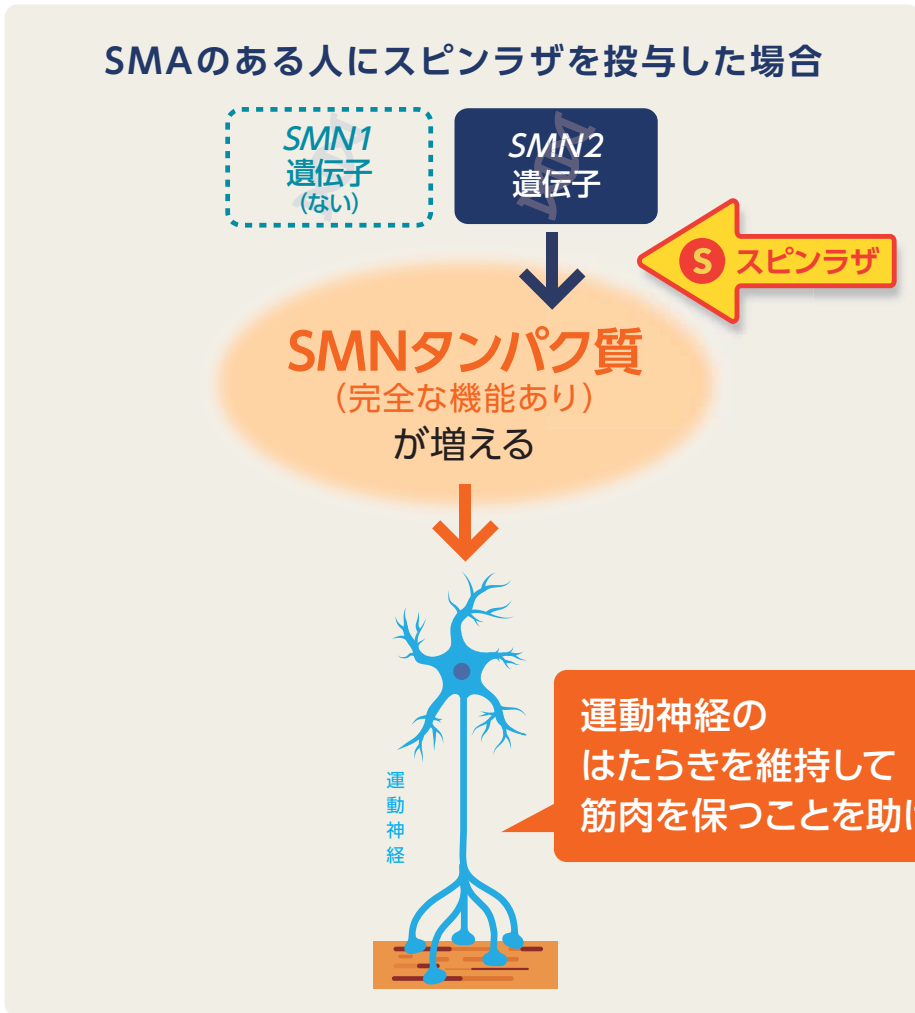
SMN : survival motor neuron

図はイメージです。神経の状態は、それぞれ異なります。

*:ほとんどのSMAはSMN1遺伝子の欠失または変化によって起こりますが、ほかの遺伝子が関わっている場合もあります。



スピラザとは



スピラザは、米国で開発された世界初のSMA ちりょうやく 治療薬です。

スピラザは、エスエムエヌツ SMN2 遺伝子から SMN タンパク質が につくられる過程の分子 (メッセンジャー RNA) にはたらきかけます。

すると、SMN2 遺伝子からつくられる SMN タンパク質が増えます。

増えた SMN タンパク質により、うんどうしんけい 運動神経のはたらきが維持され、のう 脳や せきずい 脊髄からの信号が りんしょうしけん 筋肉に伝わるようになります。

スピラザの にゅうじがた 臨床試験では、スピラザを投与した乳児型 (主に I 型) の SMA 患者さんは、スピラザを投与しなかった患者さんに比べて、運動機能が改善したり、自力で呼吸する力が保たれた方が多かったことが認められています。

また、乳児型以外 (主に II 型又は III 型→p5 参照) の SMA 患者さんにおいても、スピラザを投与した患者さんでは、投与しなかった患者さんに比べて、運動機能が改善したことが認められています。

1. National Organization for Rare Diseases. Spinal muscular atrophy. <https://rarediseases.org/rare-diseases/spinal-muscular-atrophy/> Updated 2012. Accessed May 11, 2017.
 2. Lunn MR et al.:Lancet. 2008;371(9630):2120-2133.



スピラザの投与スケジュール

スピラザは、乳児型SMAと乳児型以外のSMA（→右ページ参照）で、投与スケジュールが異なります。

● 乳児型SMA



● 乳児型以外のSMA



● スピラザの投与量

スピラザは、^{にちれい}日齢に応じて、1回あたり表に示す用量を投与します。

日齢によるスピラザ投与量

各投与時の日齢	用量	投与液量
0～90日齢	9.6 mg	4 mL
91～180日齢	10.3 mg	4.3 mL
181～365日齢	10.8 mg	4.5 mL
366～730日齢	11.3 mg	4.7 mL
731日齢～	12 mg	5 mL



SMAのタイプ

SMAは、症状が始まる年齢と運動発達レベルに従って大きく4つのタイプに分類されます。I型は乳児型SMAと呼ばれています。

タイプ	症状が始める年齢	到達できる最も高い運動機能	
I型	生後0～6ヵ月	お座りできない	乳児型 SMA
II型	生後7～18ヵ月	座った姿勢を保てる (立つことができない)	
III型	生後18ヵ月以降	支えなしで歩ける (徐々に、歩けなくなっていくこともある)	乳児型以外の SMA
IV型	青年期後期/成人期	運動発達は正常範囲	



安全性

スピンドラザの安全性

- 乳児型(主にI型)のSMA患者さんを対象に行われたスピンドラザの臨床試験では、安全性評価対象例80例中9例(11.3%)に副作用が認められました。主な副作用は発熱(2.8%)であり、その他頻脈、貧血母斑、蜂巣炎、処置後腫脹、眼振、血管炎、体温低下、体温上昇(各1.4%)でした。
- 乳児型以外(主にII型又はIII型)のSMA患者さんを対象に行われたスピンドラザの臨床試験では、安全性評価対象例84例中24例(28.6%)に副作用が認められました。主な副作用は頭痛8例(9.5%)、背部痛7例(8.3%)、発熱6例(7.1%)、嘔吐2例、腰椎穿刺後症候群2例(各2.4%)でした。
- スピンドラザはアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤ですが、海外で、他のアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤で血液凝固異常、血小板減少や腎障害が報告されています。
- 注射(腰椎穿刺)関連の症状
注射(腰椎穿刺)に関連して、以下の症状があらわれることがあります。スピンドラザの投与後、24時間はこれらの症状が起きないかどうか、注意して観察を行います。退院後に、これらの症状があらわれた場合には、医療機関にご相談ください。

あし 脚のしびれ、うずき、血液の漏出または注射部位の痛み、はいようしょうがい 排尿障害、ずつう 頭痛、はいぶつう 背部痛、はつねつ 発熱、おうと 嘔吐、いしきしょうがい 意識障害

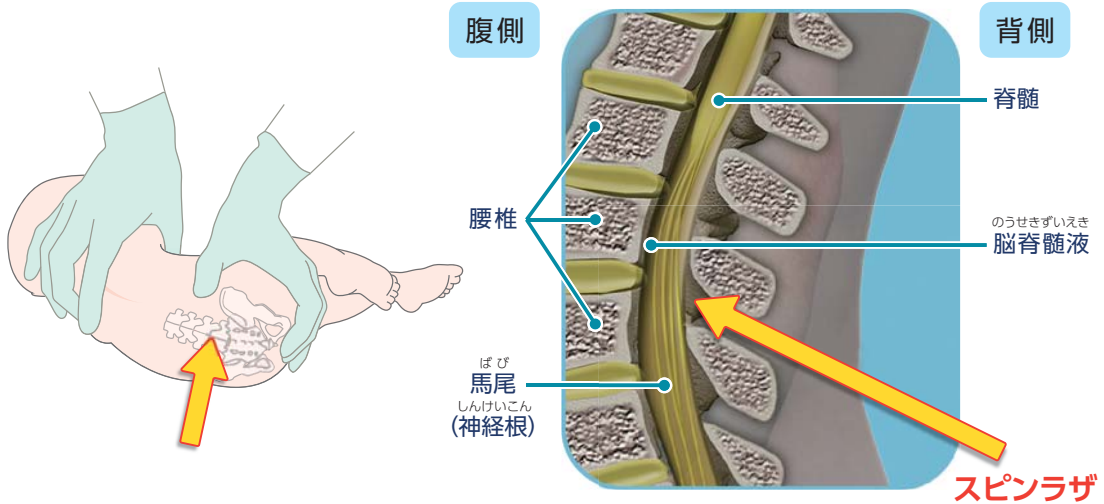


ずいこうないとうよ

髄腔内投与とは

スピラザは、髄腔内に投与する薬です。

腰の部分、腰椎の間に注射し（腰椎穿刺）、脳や脊髄に直接スピラザが行きわたるようにします。



スピラザを髄腔内に投与する理由

SMAは脊髄の運動神経の病変によって起こる病気です。

髄腔内に投与することにより、スピラザが脊髄を取り囲む脳脊髄液に入り、直接SMAの病変に届きます。



スピラザの投与時に行うこと

- 注射する部位に、皮膚の感染症や炎症がないことを確認します。
- 注射の位置を確認するために、超音波検査や、その他の画像検査を行う場合があります。
- スピラザを投与する前に、あらかじめ投与量と同程度の脳脊髄液を取り除きます。
- 注射はスパイナル針を用い、1～3分かけてスピラザを注入します。
- スピラザの髄腔内投与後、24時間は安静に過ごします。



Q & A

Q. スピンラザの投与は、誰が行うのですか？

A. スピンラザの投与は、SMAの診断及び治療に精通し、髄腔内投与及び腰椎穿刺に習熟した医師が行います。

Q. スピンラザはどのようなスケジュールで投与するのですか？

A. スピンラザによる治療は、乳児型SMAに対しては初回投与後、2週、4週及び9週に投与します。その後、4ヵ月毎に維持投与を行います。

乳児型以外のSMAに対しては初回投与後、4週及び12週に投与します。

その後、6ヵ月毎に維持投与を行います。

※初回投与を含む最初の投与(乳児型SMAでは4回、乳児型以外のSMAでは3回)を負荷投与と呼びます。

・負荷投与が遅延したり、実施できなかった場合は、スピンラザをできるだけ早期に投与した後、少なくとも2週間以上の投与間隔を置き、あらかじめ定められた頻度で投与を続けます。

・維持投与期において、予定された投与が遅延したり、実施できなかった場合は、スピンラザをできるだけ早期に投与した後、あらかじめ定められた頻度で投与を続けます。

Q. 注射は、痛いのでしょうか？

A. 注射の最中、及び注射後に痛みを感じる可能性があります。各医療機関や主治医の判断に基づいて、鎮静剤や鎮痛剤が用いられることがありますので、主治医にご相談ください。

Q. スピンラザを投与するにあたって、何か検査を行いますか？

A. 各医療機関や主治医の判断に基づいて、スピンラザの投与前、各投与時に検査を行います。血液検査や尿検査のほか、必要と考えられる検査を行います。

- スピンラザについて、さらにご不明な点がございましたら、主治医にご相談ください。または、下記の問い合わせ先にご連絡ください。

バイオジェン・パートナーコール

くすり相談室

(フリーダイヤル)

 0120-560-086

午前9:00～午後5:00

(祝祭日、会社休日を除く月曜から金曜日まで)

ホームページ：www.biogen.co.jp



WEBサイトのご案内

スピラザについて

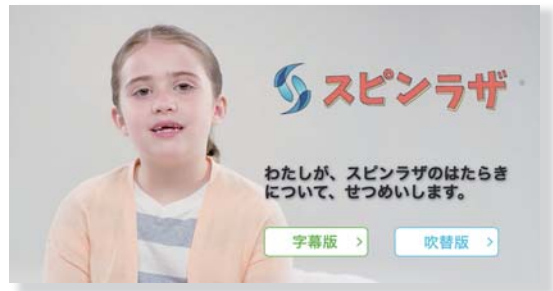
スピラザについて解説しているサイトです。

スピラザが作用するしくみについて解説している動画も掲載しています。

患者さんのための情報サイト



スピラザ[®]
を使用される患者さんへ

脊髄性筋萎縮症 (SMA) について

バイオジェン社が運営する、SMAのある方とご家族の方を応援するサイトです。

SMAとその症状に関する情報や治療・ケア対策のヒント、栄養から補装具などのさまざまなトピックに関して、経験豊富なご家族、介護の方及び医療従事者の視点からの情報を紹介しています。

また、SMAのある人が利用できる社会保障制度に関する情報も掲載しています。

TOGETHER IN SMA[™]
脊髄性筋萎縮症 (SMA) とともに

SMAとともに

検索



病・医院名