



スピンラザ®の 髄腔内投与について

【監修】

名古屋大学大学院医学系研究科
神経内科学 教授
勝野 雅央 先生



スピンラザによる
治療を受ける
Ⅱ～Ⅳ型SMA患者さんへ

病・医院名

はじめに

これまで治療法がなかったさまざまな神経筋疾患に対する治療法の開発は近年目覚ましく進んでいます。脊髄性筋萎縮症(SMA)も治療が難しい病気でしたが、2017年にスピラザが日本で初めてのSMAの治療薬として承認されて以降、SMAは治療可能な病気となり国内外で治療が普及してきています。

SMAは少しずつ筋力が衰え、これまでできていたことが徐々にできなくなる進行性の病気です。成人患者さんにおいて治療によって現在の身体機能を維持・改善することは、日常生活だけでなく社会活動において非常に重要であると思われます。

スピラザは、SMAの症状に対する治療(対症療法)ではなく、病気の原因となる遺伝子の働きを調節する治療(疾患修飾薬)です。運動神経や筋肉の機能維持を助け、病気の進行を遅らせる効果が期待されます。そのため、SMAと診断されている方にはできるだけ早い治療開始を検討いただきたいと思います。

SMAの経過や治療効果のあらわれ方は個々の患者さんの状態によって異なるため、まずはご自身の状況や治療の目標について主治医と十分に話し合ってください。

名古屋大学大学院医学系研究科
神経内科学 教授

勝野 雅央

目次

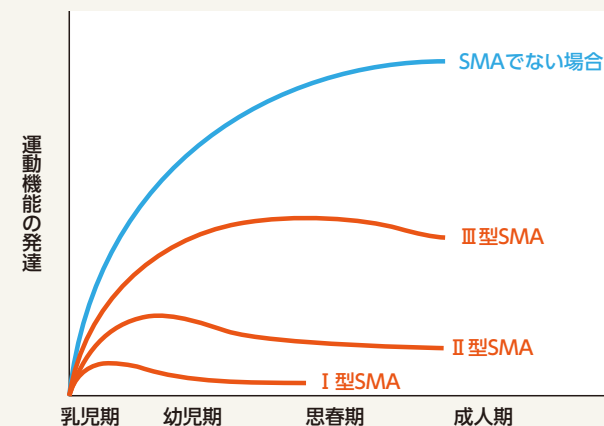
- 脊髄性筋萎縮症(SMA)とは 3
- SMAのタイプ 3
- 筋肉を動かすしくみ 4
- 下位運動神経のしくみ 5
- SMAの原因 6
- スピラザとは 7
- スピラザの作用 8
- 髄腔内投与とは 9
- スピラザの投与時に行うこと 9
- スピラザの投与スケジュール 10
- スピラザの安全性 10
- 負荷投与と維持投与 11
- SMAの治療評価 12
- 治療の効果に気づくためのポイント 15
- リハビリテーションの重要性 16
- 通院の重要性 17
- 医療費助成制度 18
- Q&A 20
- 治療の目標を決めましょう 24
- あなたのスケジュール 25
- 自宅でできるリハビリテーション 26
- SMAについてもっと知りたいときは 27

SMA 脊髄性筋萎縮症(SMA)とは

脊髄性筋萎縮症(SMA)は、運動に使う筋肉をコントロールする神経に影響を及ぼす、遺伝性の病気(神経筋疾患)です。SMAは症状が少しずつ進行していく病気であり、どのタイプでも歩くことや立つことなど、これまでできていたことが徐々にできなくなってしまう可能性があります。



SMAのタイプ別運動機能の推移(イメージ)



Sumner CJ, et al.: J Clin Invest. 2018; 128(8): 3219-3227.

SMAのタイプ

SMAは症状が開始する年齢と到達できる最も高い運動機能に従って大きく5つのタイプに分類されます。

タイプ	症状が開始する年齢	到達できる最も高い運動機能	分類
0型	胎児期	—	乳児型 SMA*
I型	生後0~6ヵ月	お座りできない	
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)	乳児型以外 のSMA*
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)	
IV型	青年期後期/成人期	運動発達は正常範囲	

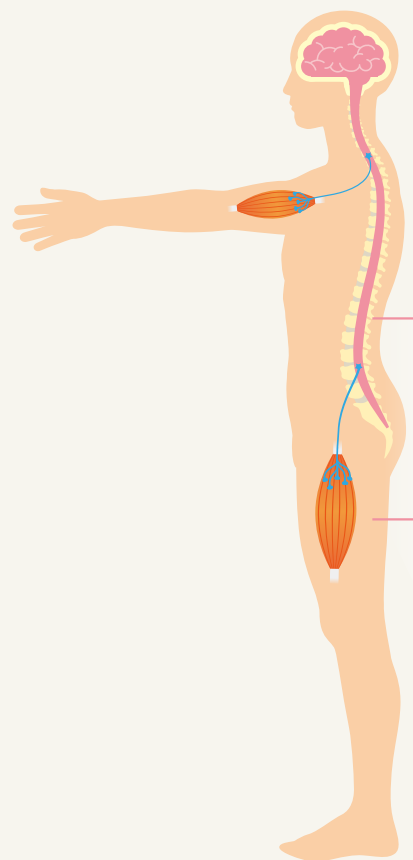
*スピラザ添付文書上の分類

筋肉を動かすしくみ

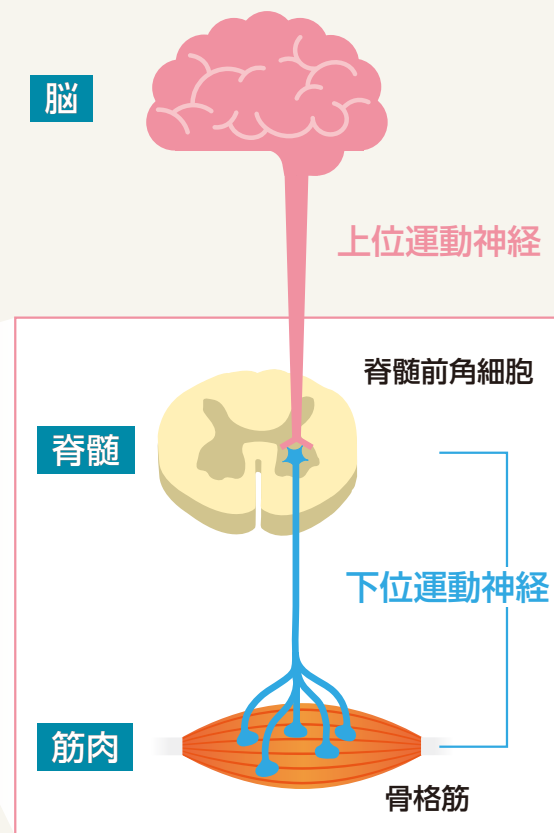
体を動かすときには、まず脳から「動け!」という信号が上位運動神経を伝わって脊髄にある脊髄前角細胞せきすいぜんかくさいぼうに届きます。

次にこの脊髄前角細胞から下位運動神経を伝わって手や足などの筋肉に信号が届くことで、手足を自由に動かすことができるようになっています。

脳からの信号



筋肉を動かすしくみ

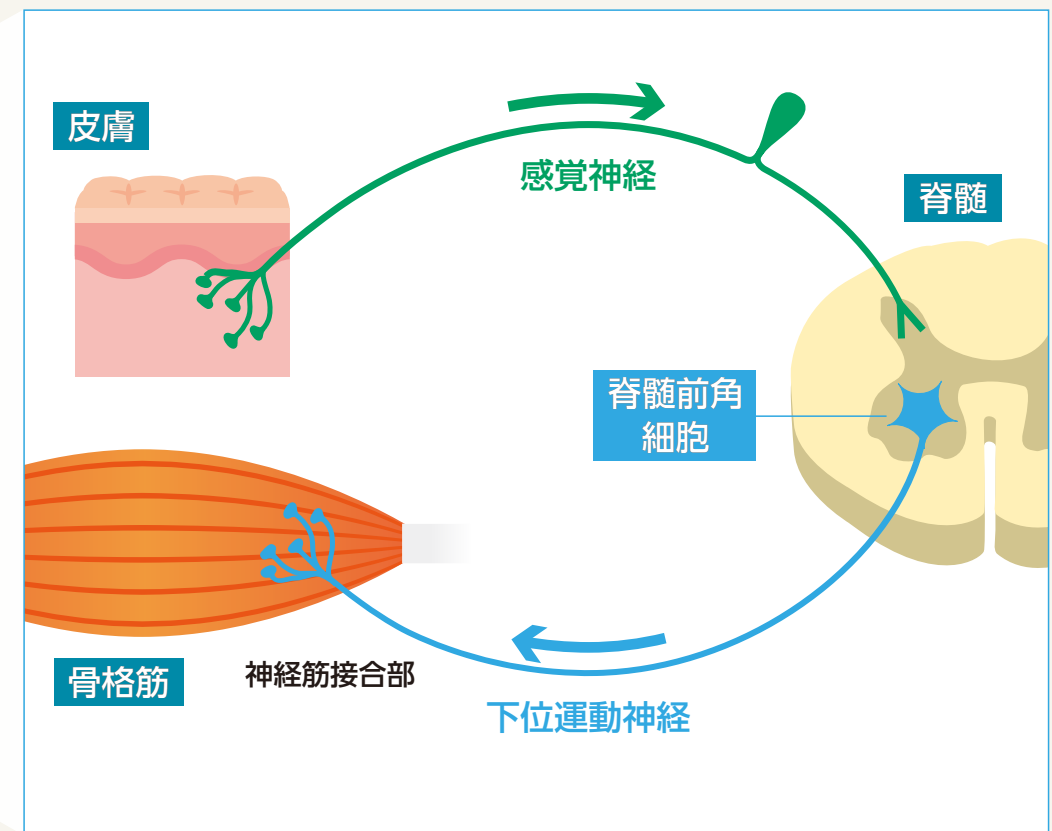


下位運動神経のしくみ

SMAは4ページで示した筋肉を動かすしくみのうち、脊髄前角細胞(下位運動神経)が変性し、筋肉を動かす機能を維持できなくなる「下位運動神経障害」に分類されます。

脊髄前角細胞の変性は感覚神経には影響しないと考えられています。

下位運動神経と感覚神経



SMAの原因^{1,2}

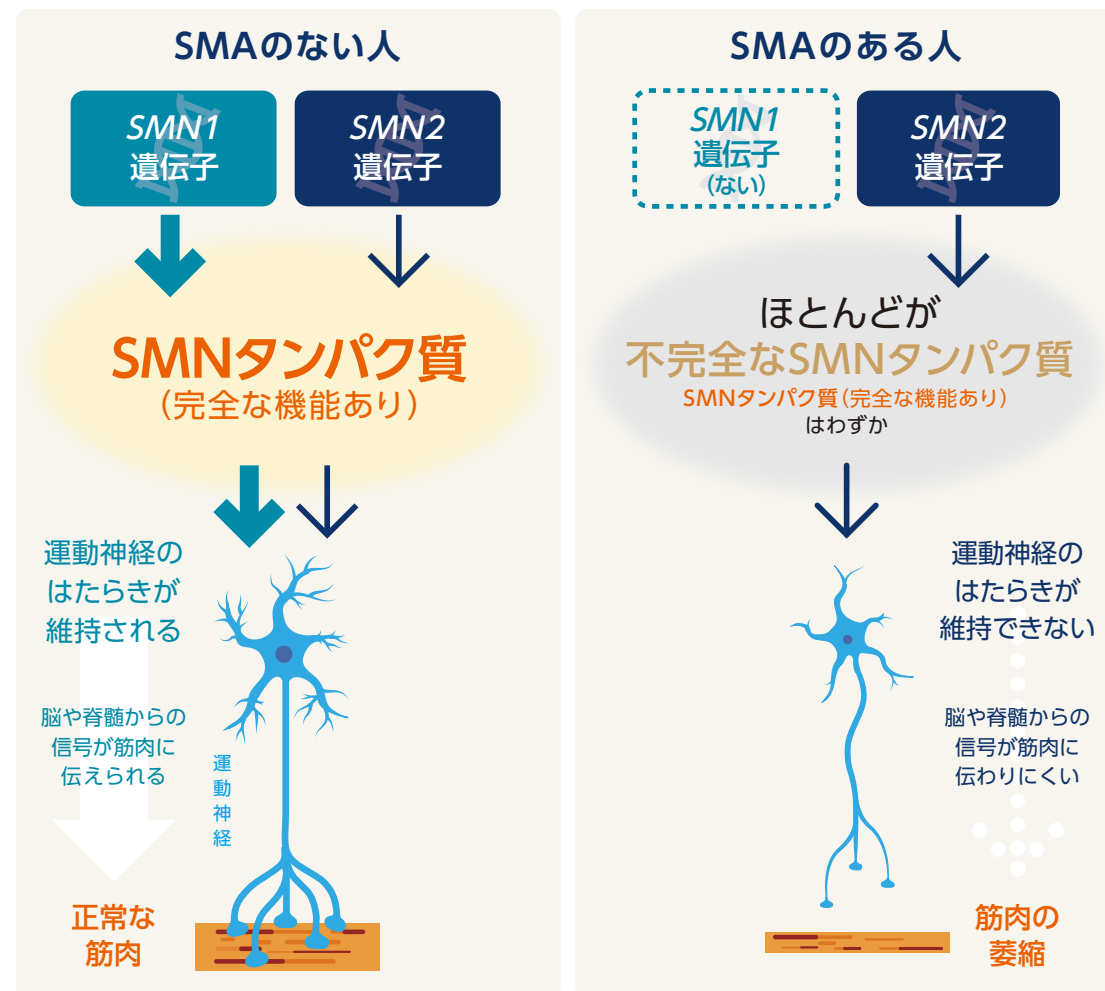
5ページで示した脊髄前角細胞の変性はSMN (survival motor neuron) タンパク質というタンパク質が不足することによって起こると考えられています。

SMAのない人では、**SMN1遺伝子**が、SMNタンパク質をつくっています。

SMAのある人では、多くの方が**SMN1遺伝子**を持っておらず^{*}、**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、**SMN1遺伝子**の「バックアップ遺伝子」である**SMN2遺伝子**からSMNタンパク質がつけられます。

しかし、**SMN2遺伝子**からつけられるのは、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、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。

※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^{3,4,5}。



図はイメージです。神経の状態は、それぞれ異なります。

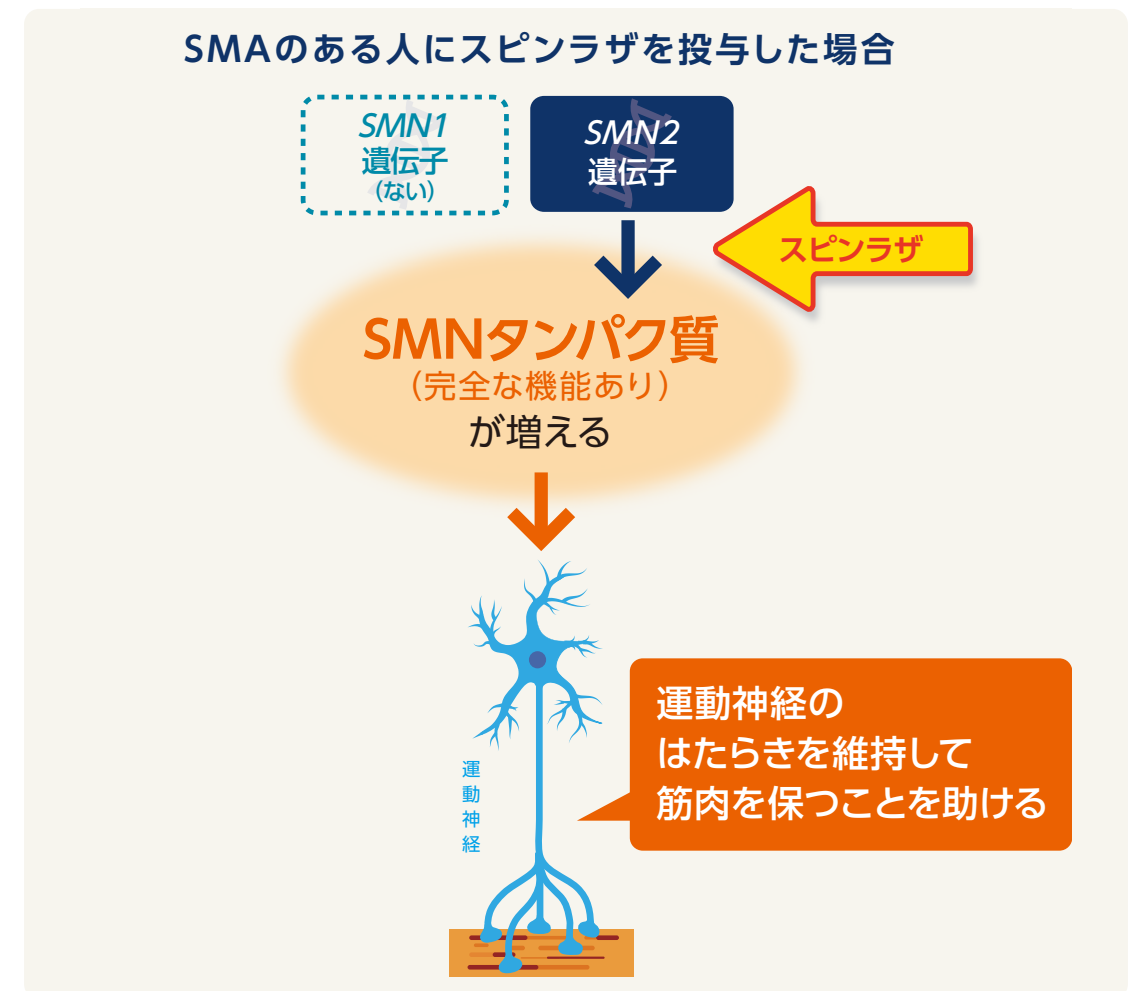
1. National Organization for Rare Diseases. Spinal muscular atrophy. <https://rarediseases.org/rare-diseases/spinal-muscular-atrophy/> Updated 2020. Accessed March 27, 2021.
 2. Lunn MR, et al.: Lancet. 2008; 371(9630): 2120-2133. 3. Lefebvre S, et al.: Cell. 1995; 80(1): 155-165.
 4. Sugarman EA, et al.: Eur J Hum Genet. 2012; 20(1): 27-32. 5. Wirth B.: Hum Mutat. 2000; 15(3): 228-237.

S スピンラザとは

スピンラザは、米国で開発された世界初のSMA治療薬です。

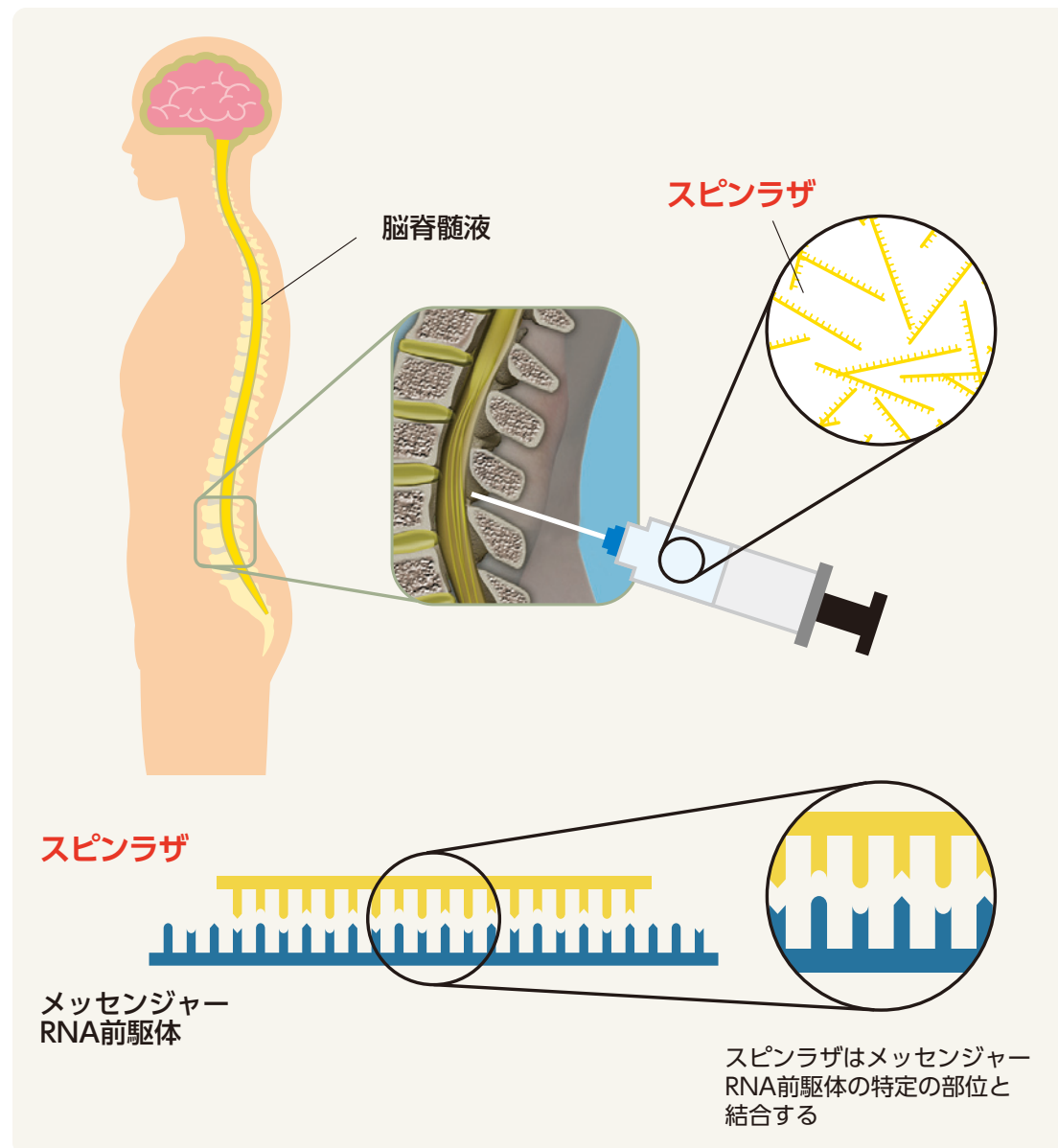
スピンラザはアンチセンスオリゴヌクレオチド (ASO) と呼ばれる短いヌクレオチド鎖です。ASOには不要なタンパク質の発現を減少させるもの、必要なタンパク質を増加させるものがあります。ASOであるスピンラザは、**SMN2遺伝子**から**SMNタンパク質**がつけられる過程の分子(メッセンジャーRNA)にはたらき、**SMN2遺伝子**からつけられる**SMNタンパク質**を増やすことができます。この増えた**SMNタンパク質**により、運動神経のはたらきが維持され、脳や脊髄からの信号が筋肉に伝わるようになります。

乳児型以外(主にII型またはIII型→3ページ参照)のSMA患者さん(2~9歳)を対象とした臨床試験では、スピンラザを投与した患者さんのほうが投与しなかった患者さんに比べて、運動機能の改善が認められました。



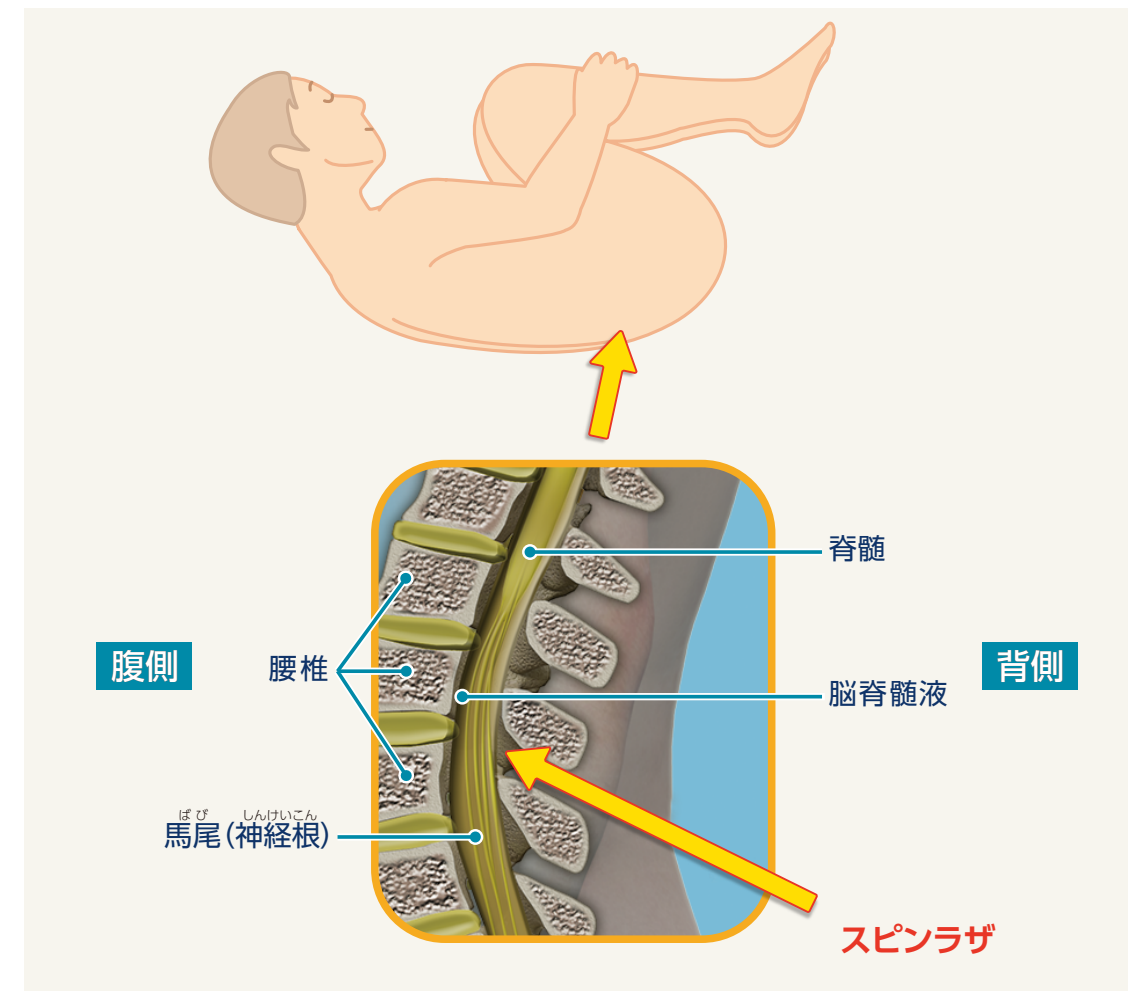
S スピンラザの作用

スピンラザは脊髄を取り囲む髄腔^{ずいくう}というスペースに注射して投与します(髄腔内投与)。髄腔の中には脳脊髄液という液体が流れており、脳と脊髄の間を行き来しています。スピンラザは髄腔内に投与するため、代謝などの影響を受けにくく、脊髄を取り囲む脳脊髄液に入り、直接SMAの病変にある脊髄前角細胞に届き作用します。スピンラザはSMN1遺伝子を持っていない、あるいはSMN1遺伝子変異があり、SMN2遺伝子が1コピー以上ある場合に有効性を示します。スピンラザはSMNタンパク質がつくられる過程の分子(メッセンジャーRNA)の特定部位に作用するように設計されたASOであり、他の遺伝子に影響しないようにつくられています。これまでのところ、他の遺伝子のメッセンジャーRNA前駆体と結合することが非常に少ないため、他の遺伝子に影響を与える可能性は低いと考えられています。



髄腔内投与とは

髄腔内投与では、腰の部分、腰椎^{ようつゐ}の間に注射し(腰椎穿刺^{ようつゐせんし})、脳や脊髄に直接スピンラザが行きわたるようにします。スピンラザの髄腔内投与は、SMAの診断・治療に精通し、髄腔内投与や腰椎穿刺に習熟した医師が行います。腰椎穿刺は髄液の検査や腰椎麻酔、脳脊髄の治療などのために、これまでも行われてきた実績のある手技です。



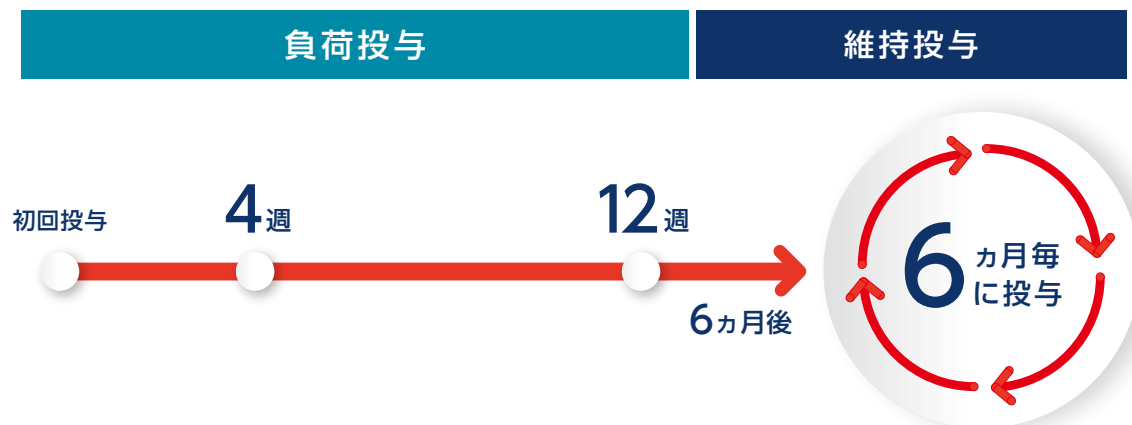
✓ スピンラザの投与時に行うこと

- 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。
- スピン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分かけてスピンラザを注入します。
- スピンラザの髄腔内投与後の過ごし方については医師の指示に従ってください。

スピラザの投与スケジュール

乳児型以外のSMA(Ⅱ～Ⅳ型)では、下記のスケジュールでスピラザを投与します。

● 乳児型以外のSMA



！ スピラザの安全性

乳児型以外(主にⅡ型またはⅢ型)のSMA患者さんを対象に行われたスピラザの臨床試験では、解析の対象となる患者さんの28.6%(84例中24例)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(髄液の漏れ)2例(各2.4%)でした。

水頭症(頻度不明)が報告されていますが、薬剤投与にかかわらずSMAのある人はSMAのない人と比べて水頭症が多く発現しているという報告があり、薬剤との関連性は明らかではありません¹。

スピラザはアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤に分類される薬です。海外において、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。スピラザの投与後、医師の指示のもと注意して観察を行います。

発熱、頭痛、背部痛、嘔吐、注射部位からの漏出^{ろうしゅつ}、脚のしびれ、排尿障害、意識障害

退院後でも、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。

1. Viscidi E, et al.: Orphanet J Rare Dis. 2021; 16(1): 207.

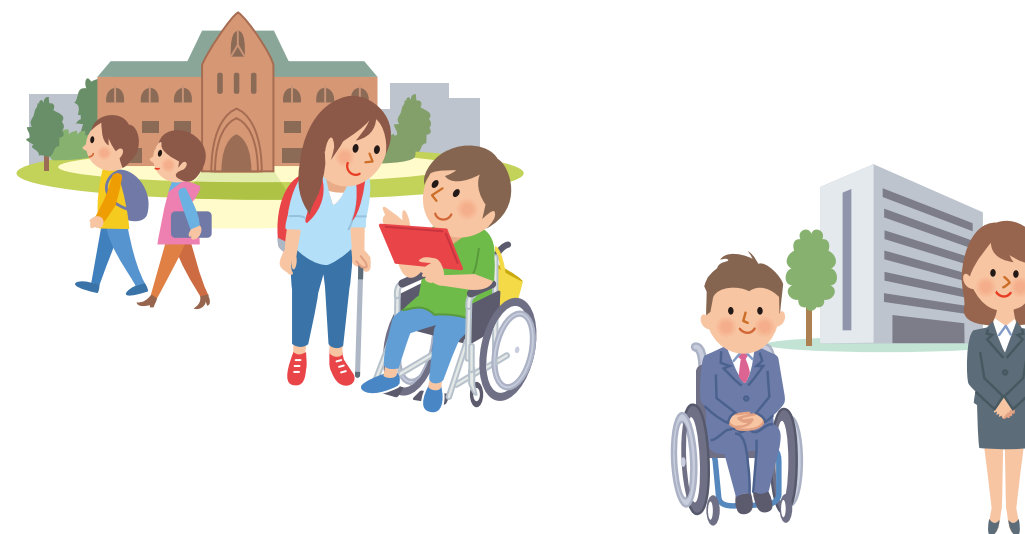
負荷投与と維持投与

治療の初期に行う負荷投与では体の中で十分な量のSMNタンパク質をつくりだすために、薬を短い期間で複数回投与します。

維持投与期では体内で一定量のSMNタンパク質を安定してつくるために、6ヵ月毎に投与します。



スピラザによる治療は、乳児型以外のSMA(Ⅱ～Ⅳ型)では、維持投与の時期になると年2回の通院になります。定期的に通院することで、前回の投与時からの変化を主治医と確認したり、リハビリについて療法士の先生と相談できるなど、個々の患者さんにあった治療プランをたてることもできます。



SMAの治療評価

拡大Hammersmith運動機能評価スケール (HFMSSE)

拡大Hammersmith運動機能評価スケール (Hammersmith Functional Motor Scale-Expanded: HFMSSE) は、SMA患者さんの運動機能を測る33項目からなる評価スケールです¹。

● HFMSSEの検査項目¹

運動機能	項目	スコアの範囲
座位	1-4	各項目は0~2で評価する。 0:行うことができない。 1:改変した動作であれば行うことができる。 2:改変なしで行うことができる。
寝返り	5-9	
姿勢を変える/四つ這い	10-17	
立位/歩行	18-20	
姿勢を変える/膝立ち	21-27	
スクワット/ジャンプ	28-29	
階段昇降	30-33	
合計	33	合計スコア:0~66 スコアが高いほど運動機能が高いことを示す。

1. O'Hagan JM, et al.: Neuromuscul Disord. 2007; 17(9-10): 693-697.

上肢モジュール改訂版 (RULM)

上肢モジュール改訂版 (Revised Upper Limb Module: RULM) は、主にⅡ型またはⅢ型SMA患者さんのうち、歩行できない方のために上半身の運動機能を測る19項目からなる評価スケールです²。

● 上肢モジュール改訂版の検査項目^{*}

B	手を膝からテーブルに移動する
C	作業を止めずに、また鉛筆を紙から離さずに、あらかじめ印刷されている道筋をなぞる
D	コイン/トークンを拾い上げる
E	コイン/トークンをカップの中に入れる(テーブル上、水平、肩の高さ、垂直)
F	側方に手を伸ばしてコイン/トークンに触れる:手を肩の高さ、それより上に動かす
G	片手でボタンライトを押す
H	紙を破る
I	プラスチック容器を開ける
J	200gの重りが入ったカップを口元まで運ぶ
K	テーブル上の200gの重りを持ち上げて、スライドさせずに水平に移動させる(正中線の円から検査側の外側の円まで)
L	テーブル上の500gの重りを持ち上げて、スライドさせずに水平に移動させる(正中線の円から検査側の外側の円まで)
M	テーブル上の200gの重りを持ち上げて、スライドさせずに斜めに移動させる(正中線の円から、検査側と反対側の外側の円まで)
N	500gの砂袋を膝からテーブルまで、または目の高さまで運ぶ
O	両腕を頭より上に挙げる-肩の外転
P	500gの重りを肩より上の高さに持ち上げる-肩の外転
Q	1kgの重りを肩より上の高さに持ち上げる-肩の外転
R	手を肩より上の高さに挙げる-肩の屈曲
S	500gの重りを肩より上の高さに挙げる-肩の屈曲
T	1kgの重りを肩より上の高さに持ち上げる-肩の屈曲

^{*}P~Tは、いずれも腕を伸展した状態で行う。

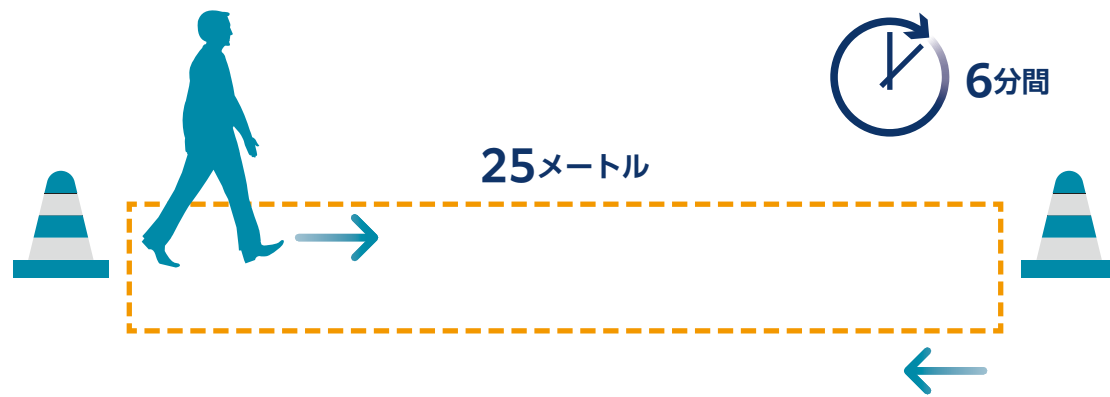
2. Mazzone ES, et al.: Muscle Nerve. 2017; 55(6): 869-874.

P 治療の効果に気づくためのポイント

6分間歩行試験 (6MWT)

6分間歩行試験 (6-Minute Walk Test: 6MWT) は歩行可能なSMA患者さんの運動機能を歩く距離によって測る評価スケールです。

平坦な25mのコースをできるだけ速く歩き、マーカーで折り返して反対方向に戻ります。これを6分間でできるだけ多く繰り返します¹。



多次元疲労尺度-20 (MFI-20)

多次元疲労尺度-20 (Multidimensional Fatigue Inventory-20: MFI-20) は、自己記入式の質問票を用いて疲労感を測る評価スケールです²⁻⁴。20の質問項目からなり、「全般的疲労感」「身体的疲労感」「活動性の低下」「意欲の低下」「精神的疲労感」の5つの尺度に分かれています。

1. Montes J, et al.: Muscle Nerve. 2011; 43(4): 485-488.
 2. Smets EM, et al.: J Psychosom Res. 1995; 39(3): 315-325.
 3. Smets EM, et al.: Br J Cancer. 1996; 73(2): 241-245.
 4. 菅谷渚 他: 産業ストレス研究. 2005; 12(3): 233-240.

小さな変化にも注目しましょう

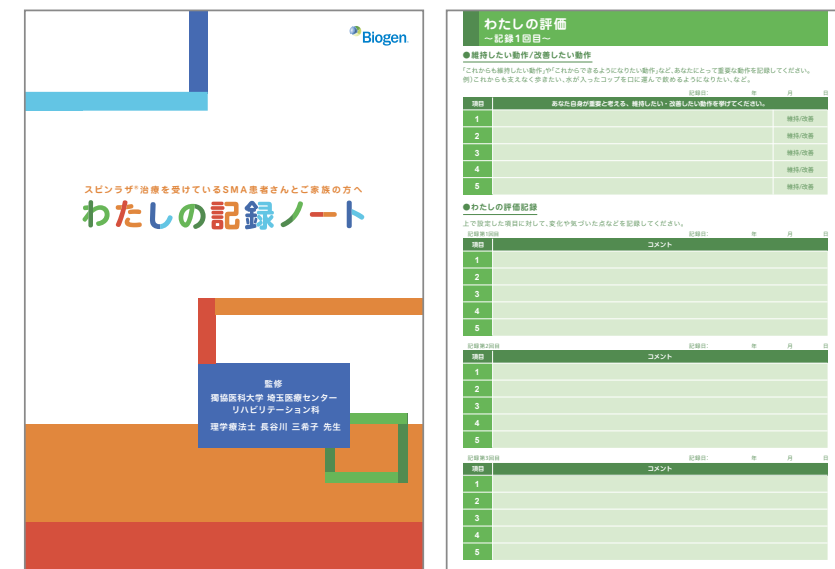
本冊子でも紹介した治療評価スケールは小さな改善を測りにくい場合があり、患者さんやご家族が「改善している」と感じているにもかかわらず、評価としてはあらわれないことがあります。「前より疲れにくくなった」「食べ物を飲み込みやすくなった」など、これまでと少しでも変化があれば、主治医や療法士の先生方と話してみましょう。

将来の目標を立てましょう

治療による症状の変化は個人差があります。症状の進行の仕方によっては、今の運動機能を維持すること、症状の進行を緩やかにすることが目標となる場合もあります。生活する中で自分が一番大事にしていることは何か、1年後、5年後、10年後の自分がどうなっていたいかなどを想像して目標を立ててみましょう。

目標について主治医と話し合いましょう

スピラザの治療を受けている患者さんにご家族の方に向けて「わたしの記録ノート」をご用意しています。日々の変化や治療の長期的な目標を書き留めておくと、ご自身の変化への気づきや治療への意欲向上につながります。また、主治医が治療方針を決めるのにも役立ちます。気づいたことや目標を積極的に主治医と話してみましょう。



PROの重要性

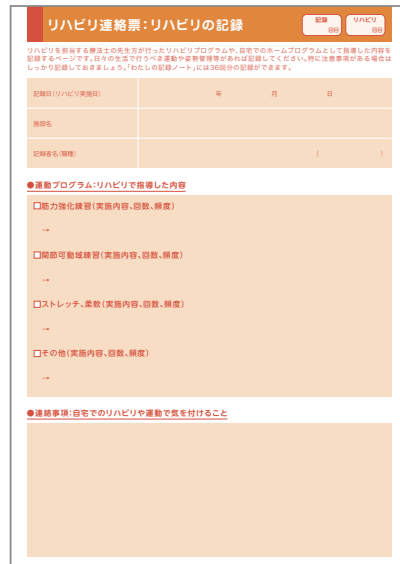
患者さんやご家族の視点での症状やQOLの評価は、患者報告アウトカム (Patient Reported Outcome: PRO) と呼ばれ、医療従事者による医学的な評価と同じくらい重要な指標だと考えられています。海外では、がんなどを含めたさまざまな疾患でこのPROが注目されています。SMAでも患者さんが主体となって行う評価が重要視されています。

リハビリテーションの重要性

運動機能の維持、向上にはリハビリテーション(以下リハビリ)が欠かせません。スピラザでの治療に加えてリハビリを行うことで、より高い運動機能の維持が期待できます。通院時だけでなく、無理のない範囲でご自宅でもリハビリを続けましょう。

ご自宅でのリハビリ

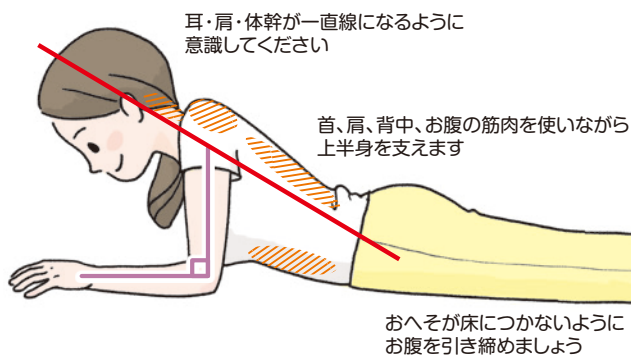
座った姿勢を維持したい、ものをつかむ力を鍛えたい、立ち上がる時の不安をなくしたいなど、目標はさまざまです。どのようなことができるようになりたいか、目標を掲げて最適なりハビリを主治医や療法士の先生などに相談してみましょう。横になってできるリハビリもありますので、ご自身にあった無理のない範囲で行ってください。「わたしの記録ノート」にはリハビリを担当する療法士の先生が実施したリハビリ内容や指導内容を記録するページもあります。



「わたしの記録ノート」

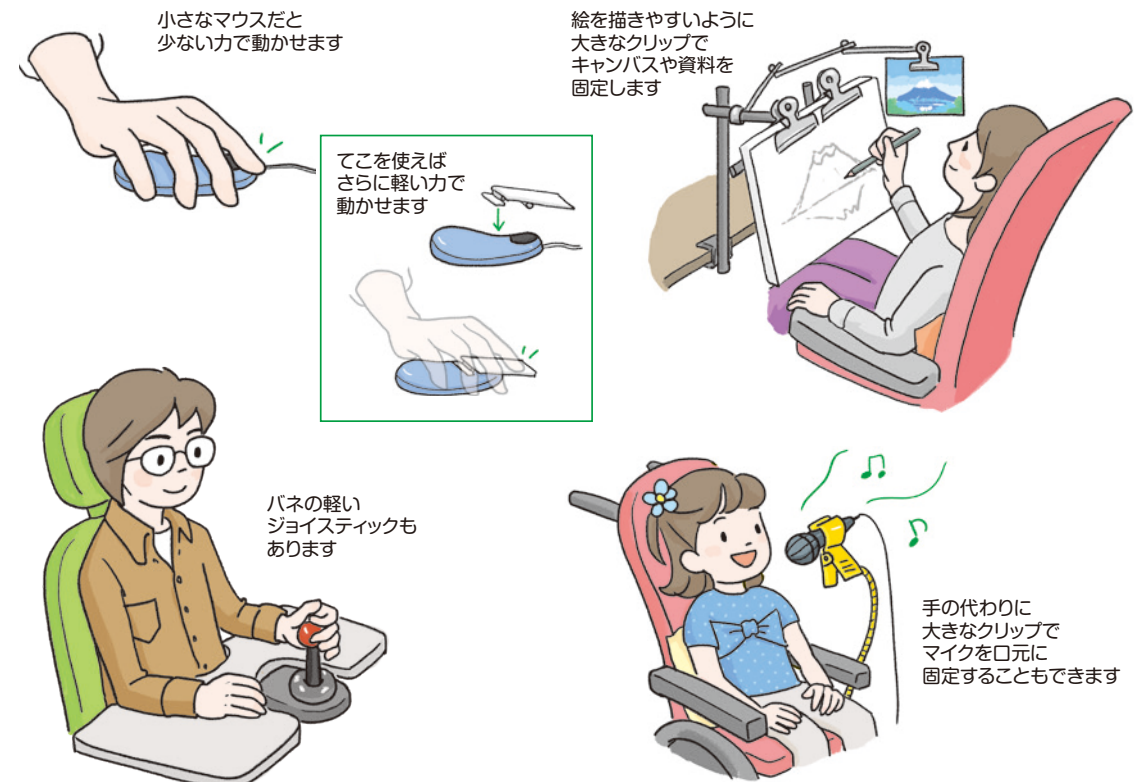
ご自宅でのリハビリの例

● 立ち上がりやすくなるリハビリ



「立ち上がり」に役立つリハビリテーション

● 手の機能を助ける道具の工夫



「手の機能を助けるリハビリテーションや道具の工夫」

ご自宅でのリハビリ方法についてまとめた冊子(26ページ参照)もご用意しておりますので、ぜひご利用ください。

通院の重要性

スピラザによる治療では年に2、3回の通院があります。定期的に通院して主治医や療法士が現在の状態を確認することで、一人一人にあった治療プランやリハビリプログラムをたてることができるため、効果的な治療を行うことができます。また通院回数が比較的少ないことから学校や仕事への影響も抑えることができます。

側弯の治療

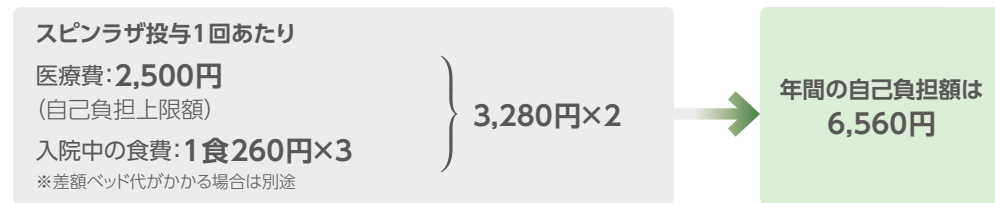
側弯とは背骨が左右に弯曲した状態で、背骨自体のねじれを伴うこともあります。体幹の筋力低下によって起こるため、SMAの進行に伴い、よくみられる症状の一つです。現在、背骨に変化がなくても必要に応じて治療を行うことが大切です。適切な対処方法について主治医と相談しましょう。

医療費助成制度

SMA患者さんが利用できる社会保障制度はさまざまあります。ここでは医療費助成制度を利用した場合の自己負担例をご紹介します。詳しくは、お住まいの都道府県や市町村などの相談窓口や、病院のソーシャルワーカーなどの専門家にお問い合わせください。

SMAタイプⅡ型 Aさんの場合 階層区分:低所得Ⅰ

25歳のAさんはパートタイムの在宅勤務で年収は80万円以下です。
スピラザ投与のため年2回、1泊2日入院しました。
利用した制度:指定難病の医療費助成



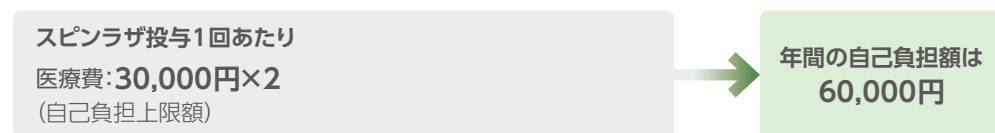
SMAタイプⅢ型 Bさんの場合 階層区分:一般所得Ⅱ

Bさんは年収500万円の会社員の夫の被扶養者です。
身の回りのことはおおむね自立していますが家事や就労は困難です(指定難病の重症度分類に該当)。
スピラザ投与のため年2回、1泊2日入院しました。
利用した制度:指定難病の医療費助成



SMAタイプⅢ型 Cさんの場合 階層区分:上位所得

Cさんは会社員で年収1,000万円です。
公共交通機関を利用した外出に介助を必要とします(指定難病の重症度分類に該当)。
スピラザ投与を日帰りで年2回行いました。
利用した制度:指定難病の医療費助成



● 医療費をサポートする制度

	中学生 (13~15歳)	高校生~20歳未満 (16~19歳)	20歳以上
SMAに関する 医療費を 助成する制度	小児慢性特定疾病		
	※20歳未満の場合も、指定難病の医療費助成は利用できませんが、小児慢性特定疾病が利用できる場合はそちらを利用することがおすすめです		
	自立支援医療制度の育成医療		指定難病 更生医療
SMA以外の 医療費も 助成する制度	乳幼児・子ども 医療費助成※		※助成年齢は自治体によって異なるが、中学校3学年修了までのことが多い
	18歳~		
	重度心身障害児(者)医療費助成		
	高額療養費制度		

申請先: 都道府県・政令市・中核市 都道府県 市町村 医療保険制度

一部制度は自治体によって申請先が変わることがあります。

SMA患者さんが利用できる社会保障制度の詳細については「脊髄性筋萎縮症 SMAのある人が利用できる制度やサービスのご紹介」もご覧ください。医療費をサポートする制度だけでなく、くらしや社会生活をサポートするさまざまな制度やサービスも紹介しています。また、Webサイト「TOGETHER IN SMA」内でも社会保障制度についてご紹介しています。



<https://www.togetherinsma.jp/ja-jp/home/social-security-system/social-security-system.html>

? Q&A

SMAに関する質問

Q. SMAとはどのような病気ですか？

A. SMAとはSMN1という遺伝子の変化によって、体の筋肉を動かすのに必要な運動神経(運動ニューロン)の機能の維持に必要なSMNタンパク質がわずかしかつづらなくなる病気です。

全身の筋力が低下するなどの症状が徐々に進行します。

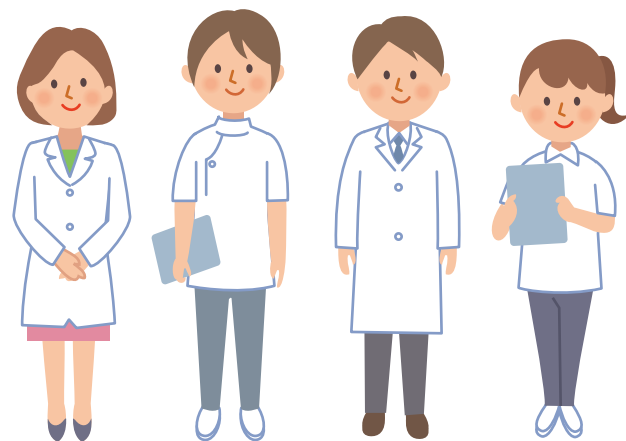
SMAは発症年齢によって0～Ⅳ型の5つの型に分類され、症状の重さは病型によって異なります。

Q. 今すぐ治療をすることが必要なのでしょうか？

A. 0型、Ⅰ型の患者さんは症状が急速に進行する可能性がありますので、1日でも早い治療が望まれます。Ⅱ型～Ⅳ型の患者さんでは治療の緊急性を感じにくい場合もあるかもしれませんが、将来の運動機能を最大化するためには早期治療が大切です。

Q. 自宅で気を付けることはありますか？

A. 座位保持が可能な場合は同じ姿勢を長く続けないように心がけましょう。SMAの症状は患者さんによって異なるため、個々の症状や生活環境にあったリハビリを行うことが必要です。主治医や療法士の先生方に相談してみましょう。



スピラザ治療に関する質問

Q. スピラザで治療を受けた人はどのくらいいますか？

A. 2016年以降、世界50ヵ国以上で11,000人以上がスピラザによる治療を受けました。

Q. スピラザの投与は、誰が行うのですか？

A. スピラザの投与は、SMAの診断・治療に精通し、髄腔内投与や腰椎穿刺に習熟した医師が行います。

Q. スピラザの投与はいつからできますか？

A. スピラザは国内に在庫があるため、SMAと診断後、投与の準備が整いし数日で投与が可能です。SMAは早期治療が大切ですので、迅速に対応できる供給体制を整えています。

Q. スピ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。

Q. スピラザの効果はどのようにあらわれるのでしょうか？

A. 治療による効果のあらわれ方や変化を感じる時期は、個々の患者さんの治療前の運動機能や発症から治療開始までの時期によって異なります。

治療目標を主治医や療法士の先生とよく相談し、治療を開始・継続することが大切です。

スピラザ治療に関する質問(つづき)

Q. スピラザはどのようなスケジュールで投与するのですか？

A. スピラザによる治療では、乳児型以外のSMAに対しては初回投与後、4週および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(乳児型以外のSMAでは3回)を負荷投与と呼びます。

スケジュールどおりに投与が実施できず、投与予定日から遅れてしまった場合は、可能な限り速やかにスピラザの投与を行い、以降、その投与を基点として、下記を参考に投与を行います。詳しくは主治医にご確認ください。

● 乳児型以外のSMA

- 1) 初回投与後の4週目の投与が遅れた場合、基点から8週後に投与し、以降は、6ヵ月間隔で投与します。
- 2) 初回投与後の12週目の投与が遅れた場合、基点から6ヵ月間隔で投与します。
- 3) スピラザの投与間隔が6ヵ月間隔となった後に投与が遅れ、基点からあらかじめ定められた次回投与日までの期間が4週間以上の場合、あらかじめ定められた投与日に投与し、以降は、6ヵ月間隔で投与します。

基点からあらかじめ定められた次回投与日までの期間が4週間未満、又は基点があらかじめ定められた次回投与日を過ぎている場合は、基点から4週間以上あけてから投与し、以降は、6ヵ月間隔で投与します。(ただし前回からの投与間隔が36ヵ月未満の場合)

Q. 投与を継続することでみられる副作用などはありますか？

A. スピラザでは、頭痛や吐き気、嘔吐、背部痛などの副作用があらわれることが報告されています。臨床試験時から7年間の使用実績の中で、継続による副作用発現状況への影響はみられておりません。

Q. 治療のために通院し続けるのが大変そうです。

A. スピラザによる治療は、乳児型以外のSMA(Ⅱ～Ⅳ型)では維持投与の時期になると年2回の通院になります。また入院期間は患者さんの体調や状況などにより異なりますが、日帰りで投与できる場合もあります。

定期的に通院することで、前回の投与時からの変化を主治医と確認したり、リハビリについて療法士の先生と相談できるなど、個々の患者さんにあった治療プランをたてることもできます。

Q. 治療で大きな変化がみられず、治療を継続するか悩んでいます。

A. 治療によって大きな変化を感じる患者さんがいる一方で、治療前とあまり変化を感じられない方もいらっしゃいます。

しかし、SMAは進行性の病気ですので、治療をしないと症状が悪化して現在できていることもできなくなっていく可能性があります。

自分の症状にあった治療の進め方を主治医と相談してみましょう。

髄腔内投与に関する質問

Q. 腰椎穿刺が不安なのですが…

A. 腰椎穿刺は髄液の検査や腰椎麻酔、脳脊髄の治療のために、これまでも行われてきた実績のある手技です。病変部位に直接届くため、体の他の部分への影響が少ないと考えられています。通常では、処置などの準備を含めても最短で15分程度で終わります。しかし、体型や骨の形によっては腰椎穿刺が通常より難しい場合もあります。わからないことや心配なことは主治医と十分に相談し不安を解消していきましょう。

Q. 注射は痛いのでしょうか？

A. 注射の最中や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。これまでの経験から痛みの少ない投与方法の相談が可能な場合があります。

- スピラザについて、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

治療の目標を決めましょう

治療の目標を決めることは、進行性の疾患であるSMAにおいて非常に重要です。
 日常生活で維持したい動作やできるようになりたい動作を下の空欄に書き出してみましょう。
 また将来に対する不安があれば、主治医に相談してみてください。
 ご家族、主治医とともに目標を決めて、治療をどう進めるかを考えていきましょう。

維持したい動作やできるようになりたい動作を挙げてみましょう

(例:「これからも支えなく歩きたい」、「パソコンの操作ができるようになりたい」)

将来の不安について先生に相談しましょう

(例:「将来の学校生活・社会生活への影響」、「将来、子どもを持ちたいと思ったら」)

年後の自分はどのようになりたいですか

あなたのスケジュール

●治療スケジュール

注射予定日	年月日
負荷投与①	年 月 日
負荷投与②	年 月 日
負荷投与③	年 月 日
維持投与	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日

●楽しみにしている予定や行事

予定・行事	年月日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日
	年 月 日



📖 自宅でできるリハビリテーション

ご自宅でのリハビリテーションについて以下の冊子をご用意しております。ぜひご利用ください。



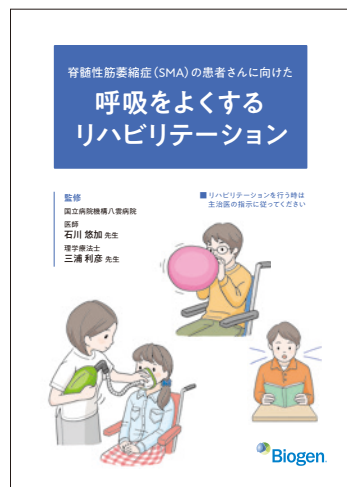
手の機能を引き出すための筋力維持や装具、道具を工夫して使う方法など、患者さんに合わせたリハビリテーション方法について解説しています。



「座れるけれども立つことが難しい」「立ち上がりや歩行に不安がある」といった方に向けたリハビリテーションを解説しています。



患者さんの運動能力を引き出すため、装具や道具などを上手に使うて正しい姿勢を保ち、適切なリハビリテーションを継続していただくためのポイントを解説しています。



生命を維持するために欠かせない呼吸について、息を吸う、吐く、咳や痰を出しやすくする介助、正しい姿勢、人工呼吸について解説しています。



患者さんが横になってできるリハビリテーションの紹介、注意事項を解説しています。

📱 SMAについてもっと知りたいときは

SMAやスピラザについて、以下のWebサイトやSNSでもご紹介しています。

スピラザ治療に関する情報はこちら

スピラザについて解説しているWebサイトです。スピラザが作用するしくみの説明動画も掲載しています。

患者さんのための情報サイト

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

<https://www.pat.spinraza.jp/>

SMAに関する情報はこちら

TOGETHER IN SMA™
脊髄性筋萎縮症(SMA)とともに
SMAについてさまざまな情報を紹介するWebサイトです

SMAとともに

<https://www.togetherinsma.jp/>

SMA情報ダイヤル
SMAに関するご質問を電話でお受けしています

0120-515-275
月～金曜日 9:30～17:30 (年末年始・祝祭日を除く)

SMA病院検索サイト
SMAに関するご相談ができる病院を紹介しています

SMA病院検索

バイオジェン・ジャパン公式ソーシャルメディア

SMAに関することなど、さまざまな情報を定期的に紹介しています。

Twitter
@BiogenJapan

Instagram
@biogenjapan

Facebook
@BiogenJapan

LinkedIn
@Biogen-

YouTube
バイオジェン