

本資料はアルジェニクス（ベルギー本社）が2021年12月17日（現地時間）に発表したプレスリリースを日本語に抄訳したもので、報道関係者の皆様への参考資料として提供するものです。本資料の正式言語は英語であり、その内容および解釈については英語が優先されます。原文は [argenx | News](#) をご参照ください。

## アルジェニクス、全身型重症筋無力症における VYVGART™（エフガルチギモド アルファ-fcab）の米国食品医薬品局（FDA）承認を発表

- VYVGART は、FDA が承認した最初で唯一の胎児性 Fc 受容体阻害薬です。
- 第Ⅲ相 ADAPT 試験の初回サイクルにおいて、抗アセチルコリン受容体（AChR）抗体陽性の全身型重症筋無力症（gMG）患者のうち、重症筋無力症の日常生活動作（MG-ADL）レスポナーはプラセボ投与群で 30%（n=19/64）であったのに対して、VYVGART 投与群では 68%（n=44/65）でした（ $p<0.0001$ ）。

ブレダ（オランダ）・ゲント（ベルギー）2021年12月17日 – 深刻な自己免疫疾患およびがんが苦しむ患者さんの生活の質の向上を目指し免疫領域に特化するアルジェニクス

（Euronext & Nasdaq: ARGX）は、本日、米国食品医薬品局（FDA）が VYVGART™（エフガルチギモドアルファ-fcab）を抗アセチルコリン受容体（AChR）抗体陽性の成人患者における全身型重症筋無力症（gMG）の治療薬として承認したと発表しました。抗 AChR 抗体陽性の患者は、gMG 患者総数の約 85%を占めています<sup>1</sup>。今回の承認により、VYVGART は FDA が承認した最初で唯一の胎児性 Fc 受容体（FcRn）阻害薬となりました。

「本日は、アルジェニクスと gMG に関わる皆さんにとって新たな時代の幕開けです。この消耗性疾患を抱えて生きる患者さんに、革新的な治療選択肢を提供する責務を果たすことができ、光栄です。VYVGART の承認は、多くの成果を意味するものです。それは、当社の最初の承認取得、FDA が承認した最初で唯一の胎児性 Fc 受容体阻害薬、gMG の根本要因である病原性 IgG 抗体を減少させることを目的に開発された初めての承認治療薬であることです。」と、アルジェニクスの最高経営責任者ティム・ファン・ハウアーメイレンは述べています。「何より、ADAPT 試験に参加してくださった患者さん、支援いただいた介護者、治験責任医師、治験チームの皆さん、また多大な努力と協力を尽くしてくれた当社の提携先と社員各位に対して、感謝を申し上げます。皆さんのお陰で、この節目を迎えることができました。」

「私たちのコマーシャル・チームは意欲的に活動し、患者さんに VYVGART を提供する態勢を整えています。当社は、自己免疫分野は進化の先端にあると考えており、今回の承認はこれから続く多くの VYVGART 発売のスタートで、世界中の患者さんの生活の質の向上に役立つことができると期待しております。」と、ファン・ハウアーメイレン CEO は続けました。

全身型重症筋無力症は、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。VYVGART は、FcRn に結合するヒト免疫グロブリン G (IgG) 1 の抗体フラグメントであり、血液中の IgG 抗体の減少をもたらします。神経筋接合部における AChR 自己抗体の作用は、gMG の主要因です<sup>2</sup>。

「gMG に関わる人々は、VYVGART の FDA 承認を長い間待ち望んでいました。特に、話したり、食べ物を嚙んだり飲み込んだり、歯を磨いたり、髪をとかすなどの基本的な動作に苦労している患者さんや、さらに深刻な、呼吸症状に苦しむ患者さんにとってはなおさらです。」と、米国重症筋無力症財団の理事長兼最高経営責任者であるサマンサ・マスターソンさんは述べています「gMG 患者コミュニティに対するアルジェニクスのためゆめぬ取り組みに感謝しています。そのおかげで、多くの gMG 患者さんの生活を変える可能性を持つ、切望されていた新しい治療選択肢が提供されることにつながりました。」

エフガルチギモドの gMG 治療薬としての販売承認申請は、現在、日本の厚生労働省および欧州医薬品庁 (EMA) で審査中であり、その判断は、それぞれ 2022 年の第 1 四半期、同年下半期に下されるものとみられます。

アルジェニクスは、中国本土におけるエフガルチギモドの開発と商品化に関する独占的な提携契約を Zai Lab 社と締結しています。Zai Lab 社は、2022 年半ばまでに中国での承認申請に向け順調に準備を進めています。今回の米国における VYVGART の承認をもって、アルジェニクスは、Zai Lab 社との戦略的合意の条件に基づき、2,500 万ドルの目標達成報奨金を受けることになります。さらに、アルジェニクスは、イスラエルでの gMG 治療薬エフガルチギモドの商品化を目的として、Medison 社と独占的に提携しています。Medison 社は、2022 年第 2 四半期にイスラエルでの承認申請に向け順調に準備を進めています。

## 実証済みの臨床効果と安全性プロファイル

「gMG を抱えて生きる人々は、根本的な病因を標的とし、臨床データで支持される新しい治療選択肢を必要としています。」と、ADAPT 試験の主任治験責任医師で、ノースカロライナ大学チャペルヒル校医学部神経学科の神経学 (神経筋疾患)、薬物治療およびコ・メディカル担当教授であるジェームス・ハワード Jr. 医学博士は述べています。「今回の承認は、この消耗性疾患によって影響を受ける gMG 患者さんとそのご家族にとって、重要で新たな進歩を意味します。この治療法は gMG の疾患の負担を軽減し、この疾患の治療方法を変える可能性があります。」

VYVGART の承認は、[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。ADAPT 試験では、抗 AChR 抗体陽性 gMG 患者の初回サイクルにおける MG-ADL レスポンダーの割合は、VYVGART 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%、 $p<0.0001$ )、主要評価項目を達成しました。レスポンダーは、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。

QMG レスポンダーの割合も、VYVGART 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%、 $p<0.0001$ )。レスポンダーは、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 VYVGART の安全性プロファイルも検証されました。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。

**重要な安全性情報（重要な安全性情報の詳細は [Prescribing Information](#) を参照のこと）**

### **VYVGART™（エフガルチギモド アルファ-fcab）とは？**

VYVGART は、アセチルコリン受容体と呼ばれるタンパク質を標的とした抗体が陽性（抗 AChR 抗体陽性）である成人に対して、全身の筋肉を疲労・消耗させる疾患である全身型重症筋無力症を治療するために使用される処方薬です。

### **VYVGART について、知っておくべき最も重要な情報は？**

VYVGART は、以下のような重篤な副作用を引き起こす可能性があります。

- **感染症：**VYVGART は、感染のリスクを高める可能性があります。臨床試験において最もよくみられた感染症は、尿路感染症と呼吸器感染症でした。プラセボ群よりも VYVGART 投与群の方が多く認められた事象は、白血球数、リンパ球数、好中球数の正常値以下の低下でした。感染症および血液検査値に関する副作用の重症度の大部分が軽度から中等度でした。主治医は、VYVGART による治療を開始する前、治療中、および治療後に、患者さんの感染の有無を確認する必要があります。感染症の病歴がある患者さんは、主治医に申し出てください。VYVGART による治療中に、発熱、悪寒、頻尿および／または排尿痛、咳嗽、鼻腔／副鼻腔の痛みや閉塞、喘鳴、息切れ、疲労、喉の痛み、過剰な痰、鼻汁、背部痛、および／または胸痛など、感染症の徴候や症状が見られる場合は、直ちに主治医にお知らせください。
- **好ましくない免疫反応（過敏性反応）：**VYVGART は発疹、皮下の腫脹、息切れなどの好ましくない反応を免疫系に引き起こす可能性があります。臨床試験において、軽度または中等度の反応が投与後 1 時間から 3 週間以内に発現しましたが、VYVGART の投与中止には至りませんでした。主治医は治療中および治療後に患者さんを観察し、必要な場合は VYVGART 投与を中止すべきです。好ましくない反応が見られたら、すぐに主治医に伝えてください。

患者さんは VYVGART の投与を受ける前に、以下のような場合を含め全ての病状を主治医に伝えてください。

- 感染症の病歴がある、または現在感染症にかかっていると思う。
  - ワクチン（予防接種）を受けた、またはワクチンを受ける予定がある。VYVGART による新しい治療サイクルを開始する前に、年齢に応じた予防接種を受ける必要があるかどうかについて、主治医に相談してください。VYVGART 治療中のワクチンの使用は研究されておらず、生ワクチンまたは弱毒生ワクチンとの併用の安全性は不明です。VYVGART による治療中の生ワクチンまたは弱毒生ワクチンの投与は推奨されません。
  - 妊娠している、または妊娠の予定がある。授乳中である、または授乳の予定がある。
- 患者さんは、処方薬、市販薬、ビタミン剤、ハーブ系サプリメントなど、現在服用しているすべての薬を主治医に伝えてください。

### **VYVGART の主な副作用は何ですか？**

VYVGART の主な副作用は、呼吸器感染症、頭痛、および尿路感染症です。

これらが VYVGART の考え得るすべての副作用であるとは限りません。副作用についての医学的な助言は、主治医にご相談ください。副作用は、米国食品医薬品局（1-800-FDA-1088）に報告することができます。

VYVGART の詳細な処方情報を参照し、主治医に相談してください。

### 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 VYVGART の安全性と有効性を評価しました。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 VYVGART 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 VYVGART 群とプラセボ群間の初回サイクルにおける MG-ADL レスポンダーの割合の比較でした。

### VYVGART について

VYVGART (エフガルチギモド アルファ-fcab) は、胎児性 Fc 受容体 (FcRn) に結合するヒト IgG1 抗体フラグメントで、血液中の IgG を減少させます。VYVGART は、初めて承認された唯一の FcRn 阻害薬です。VYVGART は、AChR 抗体陽性の成人患者における全身型重症筋無力症 (gMG) の治療薬として米国で承認されています。

### 全身型重症筋無力症について

全身型重症筋無力症 (gMG) 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。重症筋無力症患者の約 85% が 24 カ月以内に gMG へと進行し<sup>1</sup>、全身の筋肉に影響を及ぼす可能性があります。gMG 患者全体の約 85% に抗 AChR 抗体が認められます。

### アルジェニクスについて

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。アルジェニクスは、抗アセチルコリン受容体 (AChR) 抗体陽性の成人の全身型重症筋無力症 (gMG) 治療薬として最初で唯一 FDA が承認した胎児性 Fc 受容体阻害薬である VYVGART を開発し、市場に投入します。当社は現在、複数の深刻な自己免疫疾患に対するエフガルチギモドの評価を行うとともに、いくつかの初期段階の治験薬の開発を進めています。

詳細については、[www.argenx.com](http://www.argenx.com)、LinkedIn <https://www.linkedin.com/company/argenx/> と Twitter <http://twitter.com/argenxglobal> をご覧ください。

### 参考資料

1. Behn et al. New Pathways and Therapeutics Targets in Autoimmune Myasthenia Gravis. J Neuromusc Dis 5. 2018. 265-277
2. Howard JF Jr, Utsugisawa K, Benatar M, et al. Safety and efficacy of efficacy of eculizumab in anti-acetylcholine receptor antibody-positive refractory generalised myasthenia gravis (REGAIN): a phase 3, randomised, double-blind, placebo-controlled, multicenter study. Lancet Neurol. 2017; 16: 976-86

## 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

※エフガルチギモドは、日本において現在承認申請中です。

※本資料は、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。

## 将来予想に関する記述

本発表資料の内容には、「将来の見通しに関する記述」である、または「将来の見通しに関する記述」と見なされる可能性のある記述が含まれています。これらの将来の見通しに関する記述は、「believes」、「hope」、「estimates」、「anticipates」、「expects」、「intends」、「may」、「will」、「should」などの将来の見通しに関する用語の使用で特定でき、VYVGARTの商業化の可能性の推定および治療オプションへの期待に関する次のような記述を含みます。自己免疫の分野における進化に関する信念；患者への影響と効果、および潜在患者の規模；gMGコミュニティへの影響；商業的支払者との契約に対する期待；患者の治療ギャップへの対処と契約へのアプローチに対する約束に関する記述；2022年の第1四半期と下半期にそれぞれPMDAとEMAから予想される決定；Zai Labが2022年前半に中国で承認を申請し、Medisonが2022年第2四半期にイスラエルで承認を申請することへの期待；ブレイクスルーを世界に通用するポートフォリオに変えることを目指していること；そして、エフガルチギモドと他の治験薬の評価。これらのリスク、不確実性およびその他のリスクの詳細なリストおよび説明については、アルジェニクスの米国証券取引委員会(SEC)への提出書類および報告書(アルジェニクスがSECに提出したForm 20-Fに関する最新の年次報告書、およびSECに提出したその後の提出書類および報告書を含む)を参照してください。これらの不確実性を考慮し、このような将来に関する記述に過度な信頼をおかないことをお勧めします。これらの将来予想に関する記述は、本資料の発表日現在のものです。アルジェニクスは、法律により要求される場合を除き、本プレスリリースに記載された情報(将来に関する記述を含む)を公に更新または改訂する義務を負うものではありません。