

2014年11月25日

報道関係各位

## 本態性血小板血症治療剤「アグリリン®カプセル 0.5 mg」

### 新発売のお知らせ

シャイアー・ジャパン株式会社（本社：東京都新宿区、代表取締役社長：グレン・スノハラ）は、本態性血小板血症の治療薬「アグリリン®カプセル 0.5 mg」（一般名：アナグレリド塩酸塩水和物カプセル）を本日 11月 25日に発売いたしましたので、お知らせいたします。

本態性血小板血症は、体内の造血幹細胞の異常によって必要以上に血小板を作り出してしまう病気で、国内の患者数は3万人程度と推定されている希少疾患です。脳卒中や心筋梗塞などの血栓性の症状、消化管出血、血尿などの出血性の症状を引き起こし、骨髄線維症や急性白血病に進展する場合があります。これまでは抗腫瘍薬などによる細胞減少療法が行われてきましたが、既存の方法では治療できない患者さんも存在し、新たな治療選択肢が求められていました。

この度、発売されたアグリリンカプセル 0.5 mgは、血小板の前駆細胞である巨核球に選択的に作用することで血小板産生を抑制します。このことから本態性血小板血症に対して長期間にわたる血小板減少効果が期待できます。また、新たに本態性血小板血症と診断された患者さんだけでなく、既存の治療法で効果不十分または不耐容の患者さんなどに広く適用され、アンメット・メディカル・ニーズにお応えできると見込まれます。

国内第Ⅲ相臨床試験では、他剤で効果が不十分または不耐容となった高リスク患者さんに対し優れた血小板減少効果を示しました。また、海外第Ⅲb相臨床試験では新規の高リスク患者さんに対しヒドロキシカルバミドと同等の血小板減少効果が得られています。

臨床試験に携わった大阪大学大学院医学系研究科血液・腫瘍内科学の金倉譲教授は「アナグレリドは血小板に選択的な作用機序を有する、本態性血小板血症の新規治療薬です。抗がん剤とは異なるため、長期の忍容性が期待できます。本態性血小板血症の患者さんに対し、新たな選択肢が誕生することを歓迎します。」と述べられています。また、シャイアー・ジャパン株式会社代表取締役社長のグレン・スノハラは「アグリリンは幅広い年齢層の患者さんの期待に応えられる新薬です。アンメット・メディカル・ニーズを満たすという弊社のミッション実現のため、今後も革新的な医薬品の導入に努めます」と述べています。

アグリリンカプセル 0.5 mgは、これまでに、最初に承認された米国（1997年3月）のほか、欧州連合（2004年11月、販売名 Xagrid®）を含む海外の計 47の国と地域でも承認されています。国内では希少疾病用医薬品に指定され、厚生労働省から「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」の結果に基づき開発の要請を受けておりましたが、2014年9月26日に製造販売承認を取得しました。

以上

### 【アグリリン®カプセル 0.5 mg の特徴】

- ・アグリリンは、血小板の前駆細胞である巨核球に選択的に作用することで血小板産生を抑制します。
- ・他剤で効果が不十分または不耐容、及び新規の高リスク患者さんに対し長期にわたり優れた血小板減少効果を示しました。
- ・DNA の合成を阻害しないため、変異原性／白血病誘発性が認められません。

### アグリリン®カプセル 0.5 mg の製品概要

製品名	アグリリン®カプセル 0.5 mg 英語表記：AGRYLIN Capsules 0.5 mg
一般名	アナグレリド塩酸塩水和物カプセル
剤型	硬カプセル剤
効能・効果	本態性血小板血症
用法・用量	通常、成人にはアナグレリドとして1回 0.5 mg を1日2回経口投与より開始する。なお、患者の状態により適宜増減するが、増量は1週間以上の間隔をあけて1日用量として0.5 mg ずつ行い、1日4回を超えない範囲で分割して経口投与すること。ただし、1回用量として2.5 mg かつ1日用量として10 mg を超えないこと。
製造販売承認日	2014年9月26日
薬価基準収載日	2014年11月25日
発売日	2014年11月25日
製造販売元	シャイアー・ジャパン株式会社



### 国内第Ⅲ相臨床試験について

本態性血小板血症に対するアグリリンカプセル0.5 mgの安全性と有効性は、国内第Ⅲ相臨床試験(SPD422-308)で確認されています。本試験では既存の細胞減少療法（ヒドロキシカルバミド）に不応性又は不耐容で、血栓出血性イベントのリスク因子（血小板数100万/ $\mu$ L超、60歳超、又は血栓出血性事象の既往歴）を有する高リスクの本態性血小板血症患者を対象として行われ、血小板減少効果について評価しました。その結果、全患者の67.9%が血小板数の反応基準（投与開始後3ヵ月以降に、60万/ $\mu$ L未満、4週以上持続）を満たしました。

## 海外第IIIb相臨床試験について

アグリリンカプセル0.5 mgとヒドロキシカルバミドの有効性及び安全性は、海外第IIIb相試験(SPD422-403)で比較、評価されました。登録された患者を本剤0.5 mg・1日2回投与又はヒドロキシカルバミド500 mg・1日2回投与に無作為に割り付け、血小板数を60 万/ $\mu$ L未満、望ましくは15万~40 万/ $\mu$ Lの範囲に減少させ、そのレベルを維持するため、患者ごとに用量を調節しつつ投与を実施しました。その結果、血小板数40 万/ $\mu$ L未満へのコントロール率は、本剤群では56.8%、ヒドロキシカルバミド群では55.9%でした。また、血小板数60 万/ $\mu$ L未満へのコントロール率は、本剤群では77.0%、ヒドロキシカルバミド群では83.8%でした。

## 副作用について

アグリリンカプセル0.5 mgの投与による主な副作用としては、貧血、頭痛、動悸、下痢、末梢性浮腫などが報告されています。

## 参考資料

1. Orphanet Report Series. Prevalence of rare disease, November 2013, No.1
2. Brière JB. Orphanet J Rare Dis 2007; 2: 3
3. シャイアー・ジャパン株式会社 「アグリリンカプセル 0.5mg」添付文書
4. Int J Hematol (2014) 100:353-360

## 本件に関するお問い合わせ:

シャイアー・ジャパン株式会社  
東京都新宿区北新宿 2-21-1 新宿フロントタワー29階  
03-6737-0100

## 報道関係者用:

シャイアー・ジャパン株式会社広報代行 (株) プラップジャパン  
山下昌一  
03-4580-9106 [s-yamashita@prap.co.jp](mailto:s-yamashita@prap.co.jp)

## シャイアー社について

### Shire enables people with life-altering conditions to lead better lives.

シャイアー社は、アンメット・メディカル・ニーズの領域において、革新的な専門医薬品を開発、販売することに力を入れています。

神経系や希少疾患、消化器疾患、眼科、内科における治療薬を提供するとともに、専門医によって扱われるその他の領域の症状についても治療薬を開発しています。

[www.shire.com](http://www.shire.com)

## シャイアー・ジャパン株式会社について

シャイアー・ジャパン株式会社は2012年に設立され、アウトライセンス、提携、直販の3つのチャンネルで事業開発に取り組んでいます。シャイアー社の製品をお届けするほか、希少疾患および遺伝性疾患の認知向上に力を入れています。

[www.shire.co.jp](http://www.shire.co.jp)