

遺伝学的検査・受付窓口のご案内

—スピンラザの投与対象患者—



スピンラザは、5q SMA 患者のSMN2遺伝子に作用することで、正常なSMNタンパクの発現を増加させる薬剤です。投与開始前に、遺伝学的検査により下記を確認してください。

- SMN1 遺伝子の欠失または変異を有している
- SMN2 遺伝子のコピー数が1以上※

※SMN2遺伝子のコピー数が1の患者及び3以上の患者における有効性及び安全性は確立していない。これらの患者に投与する場合には、本剤投与のリスクとベネフィットを考慮した上で投与を開始し、患者の状態を慎重に観察すること。



遺伝学的検査を自施設で実施できない場合、下記の施設・検査会社にお問い合わせください。

東京女子医科大学附属 遺伝子医療センター

所長・教授：齋藤 加代子 先生

お問い合わせ E-mail : gene.ba@twmu.ac.jp

神戸大学 大学院医学研究科 地域社会医学・健康科学講座 疫学分野

教授：西尾 久英 先生 准教授：篠原 正和 先生

お問い合わせ 電話：078-382-5542 Fax:078-382-5559
E-mail : 西尾 久英 先生 nishio@med.kobe-u.ac.jp
篠原 正和 先生 mashino@med.kobe-u.ac.jp

株式会社 ビー・エム・エル

※8月下旬、受託開始予定

本社：〒151-0051 東京都渋谷区千駄ヶ谷5-21-3

総合研究所：〒350-1101 埼玉県川越市的場1361-1

お問い合わせ 電話：049-232-3131 Fax:049-232-3132



脊髄性筋萎縮症治療剤 薬価基準未収載

スピンラザ® 髄注12mg

SPINRAZA® Intrathecal injection 12mg ヌシネルセンナトリウム髄注

処方箋医薬品^(注) (注)注意—医師等の処方箋により使用すること

発売
準備中

【禁忌】(次の患者には投与しないこと)
本剤の成分に対し過敏症の既往歴のある患者



脊髄性筋萎縮症治療剤 薬価基準未収載

スピラザ® 髄注12mg

SPINRAZA® Intrathecal injection 12mg ヌシネルセンナトリウム髄注

処方箋医薬品^(注) (注) 注意 - 医師等の処方箋により使用すること

日本標準商品分類番号	87119
承認番号	22900AMX00587000
薬価収載	薬価基準未収載
販売開始	
国際誕生	2016年12月
貯法	凍結を避け、2～8℃で避光して保存
使用期限	直接容器及び外箱に表示

【禁忌】(次の患者には投与しないこと)

本剤の成分に対し過敏症の既往歴のある患者

【組成・性状】

販売名		スピラザ髄注12mg	
成分分量	有効成分 1バイアル5mL中	ヌシネルセンナトリウム (ヌシネルセンとして)	12.63mg (12mg)
	添加物 1バイアル5mL中	リン酸二水素ナトリウム 無水リン酸-水素ナトリウム 塩化ナトリウム 塩化カリウム 塩化カルシウム水和物 塩化マグネシウム pH調整剤	0.25mg 0.49mg 43.83mg 1.12mg 1.03mg 0.82mg 適量
性状	外観	無色澄明の液	
	pH	6.7～7.7	
	浸透圧比	約1(生理食塩液に対する比)	

【効能・効果】

乳児型脊髄性筋萎縮症

<効能・効果に関連する使用上の注意>

- 遺伝子検査により、SMN1遺伝子の欠失又は変異を有し、SMN2遺伝子のコピー数が1以上であることが確認された患者に投与すること。
- SMN2遺伝子のコピー数が1の患者及び3以上の患者における有効性及び安全性は確立していない。これらの患者に投与する場合には、本剤投与のリスクとベネフィットを考慮した上で投与を開始し、患者の状態を慎重に観察すること。
- 永続的な人工呼吸が導入された患者における有効性及び安全性は確立していない。これらの患者に投与する場合には、患者の状態を慎重に観察し、定期的には有効性を評価し投与継続の可否を判断すること。効果が認められない場合には投与を中止すること。

【用法・用量】

通常、ヌシネルセンとして、1回につき下表の用量を投与する。初回投与後、2週、4週及び9週に投与し、以降4カ月の間隔で投与を行うこととし、いずれの場合も1～3分かけて髄腔内投与すること。

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

<用法・用量に関連する使用上の注意>

早産児では在胎週数を考慮して用量を調節すること。[「小児等への投与」の項参照]

【使用上の注意】

1. 慎重投与(次の患者には慎重に投与すること)

- 腎機能障害のある患者[ヌシネルセン及び代謝物の排泄が遅延するおそれがある。なお、臨床試験における投与経験はない。]
- 抗凝固剤又は抗血小板薬を投与している患者、出血又は出血傾向のある患者[出血又は出血の増悪があらわれるおそれがある。]

2. 重要な基本的注意

- 本剤の投与は、脊髄性筋萎縮症の診断及び治療に十分な知識・経験を持つ医師のもとで行うこと。
- 生後8～42日齢の乳児を対象とした臨床試験では、生後52～242日齢の乳児を対象とした臨床試験と比較して脳脊髄液中薬物濃度が約5倍高値を示した。新生児期又は乳児期早期の患者に本剤を投与する場合には、患者の状態を慎重に観察すること。[「小児等への投与」及び「薬物動態」の項参照]
- 海外で他のアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤の皮下又は静脈内投与後に重度の急性血小板減少症を含む凝固系異常及び血小板減少が報告されている。本剤においても血小板減少が認められているため、本剤の投与開始前及び投与期間中は定期的に血算(血小板数)及び凝固能検査を行うこと。
- 海外で他のアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤の皮下又は静脈内投与後に腎障害が報告

されている。また、本剤においても蛋白尿の上昇が認められているため、本剤の投与開始前及び投与期間中は定期的に腎機能検査を行うこと。

- 海外で他のアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤の皮下又は静脈内投与後に肝障害が認められているため、本剤の投与開始前及び投与期間中は定期的に肝機能検査を行うこと。

3. 副作用

脊髄性筋萎縮症(SMA)と診断された乳児を対象とした第Ⅲ相シヤム(疑似的)処置対照二重盲検試験(Study CS3B、日本を含む国際共同試験)において、本剤群80例のうち9例(11.3%)に副作用が認められた。主な副作用は発熱(2.5%)、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1.3%)であった。

その他の副作用

	2%以上	2%未満
一般・全身障害および投与部位の状態	発熱	
心臓障害		頻脈
先天性、家族性および遺伝性障害		貧血母斑
感染症および寄生虫症		蜂巣炎
傷害、中毒および処置合併症		処置後腫脹
神経系障害		眼振
血管障害		血管炎
臨床検査		体温低下、体温上昇

4. 高齢者への投与

高齢者に対する安全性は確立していない。[使用経験がない]

5. 妊婦、産婦、授乳婦への投与

- 妊婦又は妊娠している可能性のある婦人には投与しないことが望ましい(妊娠中の投与に関する安全性は確立していない)。
- 授乳中の婦人には、本剤投与中は授乳を避けさせること(ヒト母乳中への移行は不明だが、マウスで乳汁中への移行が報告されている)。

6. 小児等への投与

早産児における有効性及び安全性は確立していない(使用経験が少ない)。早産児では脳脊髄液量が少ないため、脳脊髄液中濃度が上昇するおそれがある。

7. 適用上の注意

- 投与前
 - 使用前に無色透明で浮遊物等がないことを目視にて確認し、異常が認められる場合には使用しないこと。
 - 冷所から本剤を取り出した後、6時間以内に使用すること。
 - 本剤は投与前に室温に戻すこと。
 - 本剤は希釈しないこと。また、他剤と混合しないこと。
- 投与時
 - 重度の脊柱変形を生じている患者では、確実に髄腔内に刺入できるよう、超音波画像等の利用を考慮すること。
 - 本剤投与前には、本剤投与量と同程度の量の脳脊髄液を除去すること。
 - バイアルが未使用で未開封の場合は、冷蔵庫に戻すこと。
 - 使用後の残液は使用しないこと。

8. その他の注意

幼若サルを用いた53週間間歇髄腔内投与毒性試験において、1mg/回以上の群で海馬に空胞化が認められ、4mg/回の群で、学習及び記憶への影響が認められている。

【承認条件】

- 医薬品リスク管理計画を策定の上、適切に実施すること。
- [医薬品、医薬部外品、化粧品、医療機器及び再生医療等製品の製造販売後安全管理の基準に関する省令(平成16年厚生労働省令135号)第10条に規定する市販直後調査を実施すること。]
- 国内での治験症例が極めて限られていることから、再審査期間中は、全症例を対象とした使用成績調査を実施することにより、本剤使用患者の背景情報を把握するとともに、本剤の安全性及び有効性に関するデータを早期に収集し、本剤の適正使用に必要な措置を講じること。

【包装】

スピラザ髄注12mg 1バイアル/箱

●詳細は製品添付文書をご覧ください。また、使用上の注意の改訂には十分ご留意ください。

2017年6月作成(第1版)

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)
午前9:00～午後5:00
(祝祭日、会社休日を除く月曜日から金曜日まで)
ホームページ: www.biogen.co.jp

製造販売元 [資料請求先]

バイオジェン・ジャパン株式会社
〒103-0027 東京都中央区日本橋一丁目4番1号

2017年6月作成
SPI-JPN-0105
SPI006SW01