

**開発中の Empasiprubart が
慢性炎症性脱髄性多発根神経炎（CIDP）と多巣性運動ニューロパチー（MMN）
に対する希少疾病用医薬品指定を取得**

アルジェニクスジャパン株式会社（本社：東京都港区、代表取締役社長：後藤 太郎）は、本日 11 月 28 日、慢性炎症性脱髄性多発根神経炎（CIDP）と多巣性運動ニューロパチー（MMN）に対して開発中の Empasiprubart が 2025 年 11 月 27 日付で厚生労働省より希少疾病用医薬品に指定されたことをお知らせします。

CIDP と MMN はいずれも末梢神経系に炎症が起こる自己免疫疾患で、国の指定難病となっています。2021 年に行われた全国調査では、日本国内の推定患者数は、CIDP が 4,180 人¹、MMN が 507 人でした²。

Empasiprubart は、補体第 2 成分（C2）に結合し、補体カスケードにおける古典経路およびレクチン経路を阻害する新規のヒト化モノクローナル抗体です。C3 や C5 よりも上流で補体活性を阻害することにより、CIDP や MMN などの免疫介在性疾患で組織の炎症や細胞障害を軽減すると考えられています。現在 Empasiprubart は、CIDP 患者さんと MMN 患者さんを対象とした国際共同第 3 相試験を実施中です。

今回の指定について、アルジェニクスジャパン株式会社の代表取締役社長である後藤 太郎は次のように述べています。「このたび、Empasiprubart が 2 つの適応において希少疾病用医薬品に指定されたことを大変嬉しく思います。本指定は、未だ充足されない医療ニーズのある CIDP と MMN の患者さんに新しい治療の選択肢をお届けするための重要な一歩となります。現在進めている Empasiprubart の開発に全社一丸となって取り組み、新しい治療法をお待ちいただいている方々に少しでも早くお届けできるよう尽力してまいります。」

慢性炎症性脱髄性多発根神経炎（CIDP）について

CIDP は四肢筋力低下と感覚障害を主な特徴とする免疫介在性脱髄性末梢神経障害です³。発症・病態機序については十分に明らかになっていませんが、長期間にわたって再発と寛解を繰り返し、段階的または徐々に進行するなど、個々の患者さんで様々な経過をたどります¹。本疾患は患者さんの運動機能や日常生活動作に支障をきたし、QOL の低下や就業への影響など様々な負担をもたらします。

多巣性運動ニューロパチー（MMN）について

MMN は、末梢神経系に影響を及ぼす希少で重篤かつ慢性的な自己免疫疾患です。この疾患は、主に手、前腕、下腿の筋力低下が左右非対称に、ゆっくりと進行することが特徴です。MMN はしばしば抗 GM1 IgM 自己抗体の存在と関連しており、これが補体カスケードにおける古典経路の活性化を引き起こし、結果として軸索障害を促進します。

Empasiprubarb について

Empasiprubarb は、補体第 2 成分（C2）に結合し、補体カスケードの古典経路およびレクチン経路の活性化を阻害する新規のヒト化モノクローナル抗体です。C3 や C5 よりも上流で補体活性を阻害することで、組織の炎症や細胞障害を軽減する可能性があり、MMN や CIDP などの重篤な自己免疫疾患に対する幅広い治療への可能性が期待されています。

アルジェニクスジャパン株式会社について

アルジェニクスジャパン株式会社は、ベルギー・ゲント市に本拠を置くアルジェニクス BV の日本法人です。アルジェニクスは免疫領域に特化したグローバル医薬品企業で、深刻な自己免疫疾患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ます。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、米国、日本、イスラエル、EU、英国、カナダ、スイス、中国等で初めて承認された抗胎児性 Fc 受容体（FcRn）抗体フラグメント製剤を開発および販売して参りました。当社は更に、多くの重篤な自己免疫疾患に対してエフガルチギモドを評価していることに加え、注力している治療領域で、複数の新しい品目について早期の研究開発を進めております。

アルジェニクスジャパンの詳細については、www.argenx.jp をご覧ください。

参考文献：

1. Aotsuka Y et al. Neurology. 2024; 102(6), e209130.
2. Aotsuka Y et al. Muscle Nerve. 2024;70(5):1027-1033.
3. 日本神経学会: 慢性炎症性脱髄性多発根ニューロパチー, 多巣性運動ニューロパチー診療ガイドライン 2024. 南江堂, 東京, 2024

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 :080-1909-3114 E-mail : jp.communication@argenx.com

※本プレスリリースは、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。また、本プレスリリースには、医療用医薬品や開発品の情報を含みますが、これらは医療用医薬品や開発品のプロモーションや広告を目的とするものではありません。