

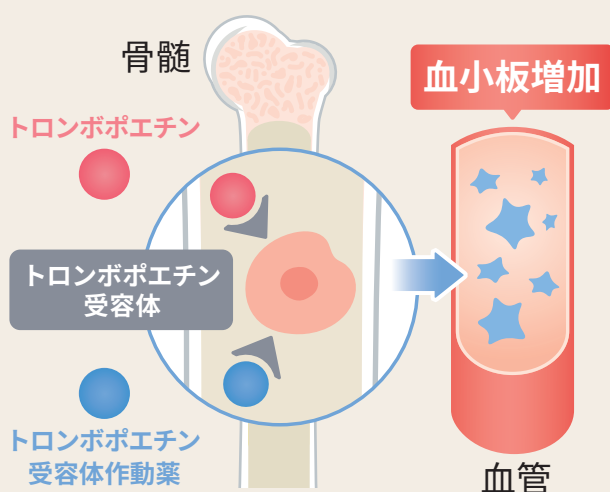
18歳以上の日本人の慢性免疫性血小板減少症 (ITP) の患者さんに、飲み薬「アバロンボパグ」が効果的で安全かどうかを調べた試験



この臨床試験が計画された経緯

免疫性血小板減少症 (ITP) は、本来は細菌やウイルスなどから体を守る免疫がまちがえて血小板を壊してしまい、血小板の数が少なくなる病気です。血小板は出血を止める働きがあるので、血小板の数が少ないと出血しやすくなったり、血が止まらなくなったりすることがあり、日常生活に支障が出る場合があります。青あざ (皮下出血) や鼻血、歯ぐきからの出血などがよく見られます。また血小板の数がとても少ないと、血が止まりにくいことから手術や治療を受けにくくなります。

トロンボポエチン (TPO) 受容体作動薬の働き



日本では、免疫性血小板減少症の治療としてまず「ステロイド薬」が用いられます。ステロイド薬でもある程度の効果は認められますが、効果が持続しなかったり、また長く使用すると副作用が出る場合があります。

ステロイド薬で効果が見られない場合は、トロンボポエチン (TPO) 受容体作動薬やリツキシマブ (点滴の薬) が次の治療として考えられます。

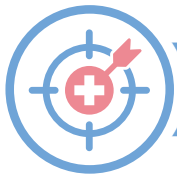
血小板は骨の中 (骨髓) で作られます。TPO は、骨髓に「もっと血小板を作りなさい」という合図を出します。TPO 受容体作動薬は、この合図と同じ働きをする薬で、血小板を増やす作用があります。

現在、日本で使用可能な TPO 受容体作動薬には、投与方法や日常生活上の配慮^{*1}が必要な場合があります。

アバロンボパグは飲み薬の TPO 受容体作動薬で、すでに海外で承認されています。食後に飲む薬であり、食事内容に制限はなく、薬を続けやすいことが想定され、日本でも安全で効果があるかどうかを確かめるために、この試験が行われました。

^{*1} 投与方法や日常生活上の配慮として、注射が必要であったり、食事の前夜を避けて薬を使用する必要や定期的な肝機能検査が必要なことがある点が挙げられます。





この試験で調べたこと

この試験ではアバロンボパグについて以下のことを調べました。

- ▶ アバロンボパグを26週間飲んでいて安全に日常生活が送れる血小板数〔血液1 μ L (マイクロリットル) 中5万個以上〕が保たれた期間 (週数)
- ▶ 他の薬の使用や輸血を減らせるかどうか
- ▶ 薬を飲んだ後にでる体の不調*²にはどんなものがあるか、安全に使えるか
- ▶ 日本人の患者さんの体内で、薬がどのように働くか (血液の中の薬の濃さなど)



この試験の方法について

試験

新しい薬が本当に安全で役に立つか、多くの患者さんで最終確認する段階の試験

実施場所

日本の病院19か所

対象

慢性免疫性血小板減少症*³の従来の薬で十分な効果が見られない患者さん19名

治療

アバロンボパグを1日1回服用 (最初は20mg、血小板数に応じて調整)

期間

26週間 (その後、経過観察のための延長試験があり、2025年10月末に終了)

治療中は、血小板の数や出血の有無、薬を飲んだ後にでる体の不調*²を確認しました。

試験の流れ

スクリーニング期



4週間まで

試験参加の適格性を調べる期間

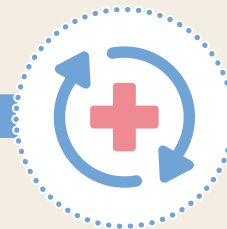
試験期



26週

主要な解析の期間

延長期*⁴



長期の経過観察期間

試験期の 詳細

1~6週目

薬の量の調整

7~18週目

併用している薬の量を減らす期間

19~26週目

治療内容を維持する期間

*²薬を飲んだ後にでる体の不調は、試験中に見られた好ましくないことをいいます。

*³慢性免疫性血小板減少症の「慢性」とは、病気の発症または診断から12か月以上経過した状態をいいます。

*⁴延長期は2025年10月末に終了し、延長期の結果はこの要約には含まれておりません。



この試験でわかったこと

試験の結果

この試験には男性4名、女性15名にご参加いただき、平均年齢は56歳でした。

安全に日常生活が送れる血小板数(5万/μL以上)を**目標血小板数**として**薬の効果**を調べました。

- 63%の患者さんが**1週間以内に目標血小板数に到達**しました。
- 42%の患者さんで**良好な反応**^{*5}が認められました。
- 8日目までに26.3%の患者さんが**完全な改善**^{*6}を達成しました。
- 26週間のうち、目標血小板数を維持できた期間の合計は、平均13.5週間でした。
- 目標血小板数の達成は、最大で平均7.6週持続しました。
- 試験期間中、血小板数は概ね5~20万/μLを維持していました。
- 56%の患者さんが他の免疫性血小板減少症の薬を減量することができました。

1週間以内に
目標血小板数
を達成

63%

良好な反応

42%

完全な改善

26.3%

体内での 薬の働き方

- 外国人と日本人の患者さんの体内でのアバロンボパグの働き方に大きな違いは認められませんでした。
- 日本人の患者さんの方が体重が軽いため、血中の薬の濃さは少し高めでしたが、安全性に大きな問題はありませんでした。

安全性と 薬を飲んだ後にでた 体の不調^{*2}について

- アバロンボパグの安全性は概ね良好でした。94.7%の患者さんに薬を飲んだ後に1つ以上の体の不調がでましたが、**ほとんどが風邪やじんましんといったもの**でした。

よく見られた体の不調^{*2}

- | | | |
|----------|-------|---------|
| ▶ コロナ感染症 | ▶ 吐き気 | ▶ じんましん |
| ▶ 風邪 | ▶ 鼻炎 | |

- 重い症状は3名(15.8%)の患者さんに認められましたが、**いずれもアバロンボパグとは関係がない**と判断されました。
- 試験期間では、**死亡や血栓**(血管の中にできる血のかたまり)はなく、延長期に血栓が1名の患者さんに認められました。

^{*2}薬を飲んだ後にでる体の不調は、試験中に見られた好ましくないことであって、アバロンボパグを飲むことによって必ずしも起こるとは限りません。

^{*5}良好な反応とは、最後の8週間のうち、目標血小板数を維持できる週が6週以上あった場合をいいます。

^{*6}完全な改善とは、血小板数10万/μL以上で、出血がなかった場合をいいます。













患者さんにとっての有用性について

この試験の結果から、アバロンボパグは、他の治療で効果が見られなかった日本人の慢性免疫性血小板減少症の患者さんに対しても安全に使用でき、効果が期待できる薬であることがわかりました。

- **血小板を増やす効果があり**、他の薬を減量できる可能性があります。
- **患者さんに予想外の体の不調はなく**、安全性は海外のデータと同様でした。

まとめ

 病気 慢性免疫性血小板減少症 (ITP)	 治療 アバロンボパグ (トロンボポエチン受容体作動薬)	 対象 日本人成人の患者さん 19名		
 薬の量 1日20mg (調整可)	 試験期間 26週 (延長試験は 2025年10月末に終了)	 主な結果 63%の患者さんが1週間以内に目標血小板数 (5万/μL以上) を達成		
 薬を飲んだ後にでた体の不調^{*2}	 風邪・コロナ感染症	 吐き気	 じんましん	 鼻炎

今回わかったこと

他の薬で効果が不十分だった18歳以上の日本人の慢性免疫性血小板減少症の患者さんに対しても、アバロンボパグを飲み薬として使用できる可能性があることがわかりました。食後に飲む薬であり、食事内容に制限はなく、患者さんの日常生活において治療を続けやすい利点もあります。

^{*2}薬を飲んだ後にでる体の不調は、試験中に見られた好ましくないことであって、アバロンボパグを飲むことによって必ずしも起こるとは限りません。

この試験の結果は2025年に、International Journal of Hematology (英語) に発表されています。この要約は、日本で行われた臨床試験について患者さんやご家族のご理解に役立つように作成されました。免疫性血小板減少症の治療については、必ず担当の医師にご相談ください。