

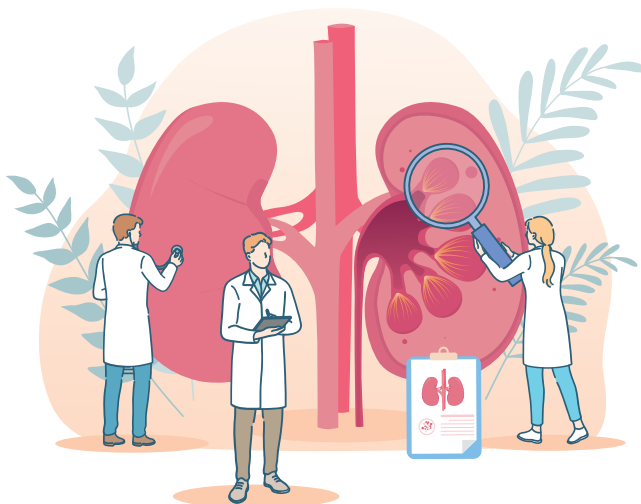
C3腎症または一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎(一次性IC-MPGN)の患者さんに、「ペグセタコプラン」の効果と安全性を調べた試験

1. この臨床試験が計画された経緯

C3腎症または**一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎**は、稀な腎臓の病気です。腎臓には、血液をろ過して尿を作る小さなフィルターがあります。これを**糸球体**といいます。

■ C3腎症とは

C3は、体を感染から守る免疫システムの一部である**補体**という仕組みに関係するタンパクです。C3腎症では、この補体が過剰に働いたり、うまく制御できなくなったりして、C3というタンパクが腎臓の糸球体にたまり、炎症を起こす病気です。



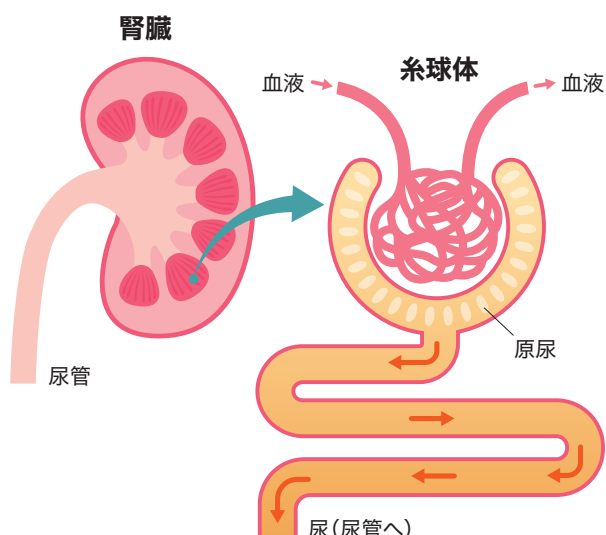
■ 一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎(一次性IC-MPGN)とは

抗体などの免疫物質が体の中のものとは結合してできる**免疫複合体**が腎臓の糸球体にたまり、炎症を起こす病気です。**膜性増殖性糸球体腎炎** (MPGN) では、腎臓のフィルターである糸球体の膜が炎症によって厚くなったり、細胞が増えたりします。**一次性**というのは、明らかな感染症、がんなどの別の原因が見つからず、腎臓の病気として主に起きている、という意味です。

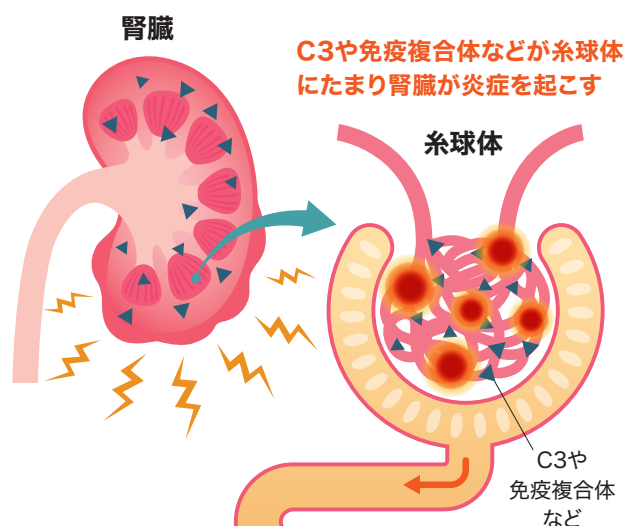
ペグセタコプランは、補体が過剰に働くのを抑えることにより、免疫システムを整える作用があり、C3腎症やMPGNの患者さんにおいて、腎臓の炎症やダメージを抑えることが期待されます。

この試験は、C3腎症または一次性IC-MPGNの治療に使われている薬にペグセタコプランを追加して使用した場合、安全で効果があるかどうかを確かめるために行われました。

正常な腎臓



C3腎症/一次性IC-MPGNの腎臓



2. この臨床試験に参加した方

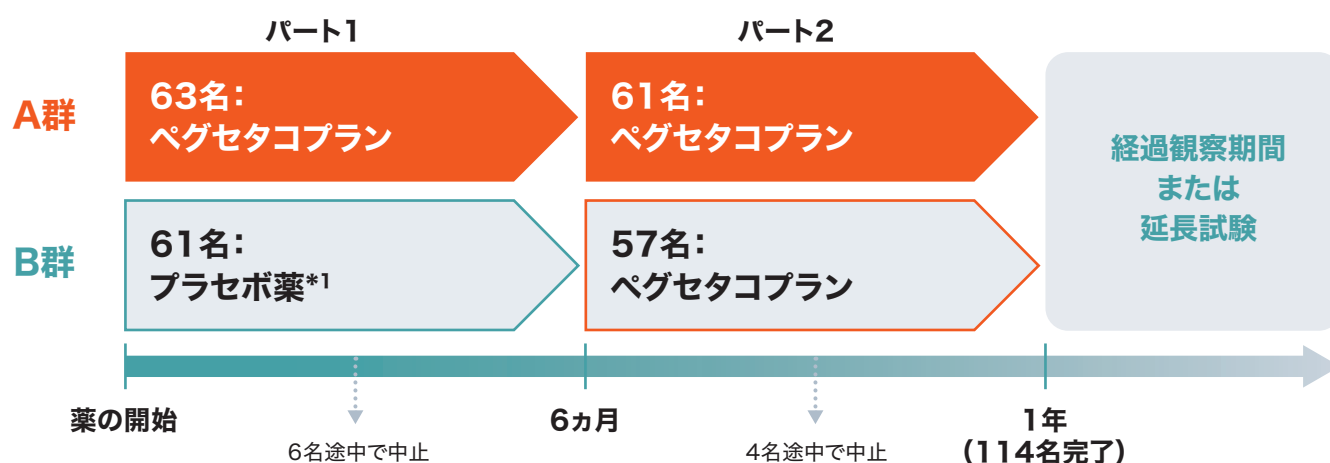
この試験には、参加基準を満たす124名のC3腎症または一次性IC-MPGNの患者さんが参加しました。

- 参加者124名のうち、男性は54名、女性は70名でした。
- 参加者の年齢は12歳から74歳でした。
- 12歳から17歳の患者さんは55名(平均15歳)で、18歳以上の患者さんは69名(平均35歳)でした。

この試験は世界19カ国の122カ所の病院で実施されました。

国名	参加者数	国名	参加者数
アメリカ合衆国	31	スイス	3
アルゼンチン	3	スペイン	6
イギリス	9	チェコ	1
イスラエル	1	ドイツ	4
イタリア	17	日本	3
オーストラリア	4	ブラジル	19
オーストリア	3	フランス	5
オランダ	7	ベルギー	1
カナダ	3	ポーランド	0
韓国	4		

3. この試験の方法について



- この試験はパート1とパート2からなる試験で、参加者はA群かB群のどちらかに分けられました。
- パート1(6ヵ月間)では、A群の患者さんはペグセタコプランを使い、B群の患者さんは、プラセボ薬(有効成分を含まない薬)^{*1}を使用しました。
- パート2(6ヵ月間)では、A群とB群の参加者全員がペグセタコプランを使用しました。
- 患者さんは、C3腎症または一次性IC-MPGNの治療に必要な別の薬を試験参加前から使用しており、試験中もその薬を使用していました。
- 感染症を予防するため、試験に参加する前に、髄膜炎菌などに対する必要なワクチンの接種を受けてもらいました。
- ペグセタコプランは皮膚の下にゆっくり入れる注射薬です。試験中は週2回注射をしました。
- 試験中は、薬を使用した後にみられた体の不調^{*2}や腎臓の機能を確認しました。
- 試験期間は、延長試験を含め約70週(約1年4ヵ月)で、114名が1年間の試験(パート1と2)を終えました。
- 薬の開始から1年後、担当医師の判断により、ペグセタコプランを継続する患者さんと中止する患者さんに分けられました。継続した患者さんは延長試験に参加し、中止した患者さんでは、その後8週間健康状態を観察しました。

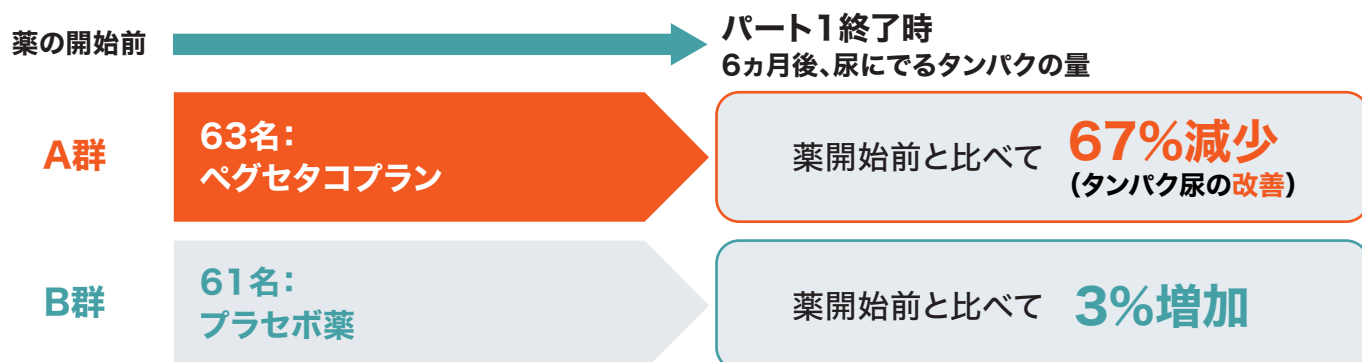
^{*1} プラセボ薬とは、試験薬であるペグセタコプランと見た目上区別がつかないように作られた、有効成分を含まない薬です。

^{*2} 薬を使用した後にみられた体の不調は、試験中に見られた好ましくない症状や変化であって、ペグセタコプランを使用することによって必ずしも起こるとは限りません。

4. この試験でわかったこと

6ヵ月間のパート1試験での結果

- ペグセタコプランを使用した63名とプラセボ薬を使用した61名の、パート1に参加した患者さんでの結果をまとめました。
- 腎臓の機能の評価の一つとして、尿にでるタンパクの量*3を調べました。



- ペグセタコプランを使用した患者さんでは、6ヵ月後、尿にでるタンパクの量が67%減少しました。これは、タンパク尿が改善されたことを示します。
- プラセボ薬を使用した患者さんでは、6ヵ月後、尿にでるタンパクの量が3%増加しました。これはタンパク尿の改善は見られなかったことを示します。

試験期間全体を通して、薬を使用した後にみられた体の不調について

- 薬が安全かどうかを調べるため、薬を使用した後にみられた体の不調を調べました。この調査は、試験中に1回でもペグセタコプランを使用した患者さん120名 (A群63名とB群57名) を対象としました。

よくみられた体の不調

よく見られた体の不調の中で、担当の医師が「ペグセタコプランとの関連がある可能性を否定できない」と判断したものには、注射した部位の腫れやかゆみ、下痢、かゆみなどがありました。

重い体調不良*4

発熱 (1名)、帯状疱疹ウイルスによる髄膜脳炎 (1名)

ペグセタコプランを使用した患者さんのうち、重い体調不良がみられた方は14名でした。そのうち2名については、担当医師が「ペグセタコプランとの関連がある可能性を否定できない」と判断しました。



- 6名の患者さんが体の不調により、試験への参加を途中で中止しました。そのうち3名については、担当医師が「ペグセタコプランとの関連がある可能性を否定できない」と判断しました。
- 薬を使用した後にみられた体の不調が原因で亡くなった患者さんはいませんでした。
- 試験中に亡くなった患者さんが1名いましたが、別の病気によるもので、ペグセタコプランとは関係がないと判断されました。

*3 尿にでるタンパクの量を調べるため、尿中のタンパクとクレアチニンの量の比を調べる尿検査を行いました。腎臓は体の中の要らないものを尿として排出する臓器です。通常、タンパクは体の中に留まり、クレアチニンは要らないものなので尿の中に排出されます。

*4 体の不調のなかで、命に関わるもの、入院が必要になるもの、障害が残るもの、生まれてくる赤ちゃんに影響するもの、または死亡につながるもの、担当の医師が重要と考えたものは、「重い体調不良」とされます。

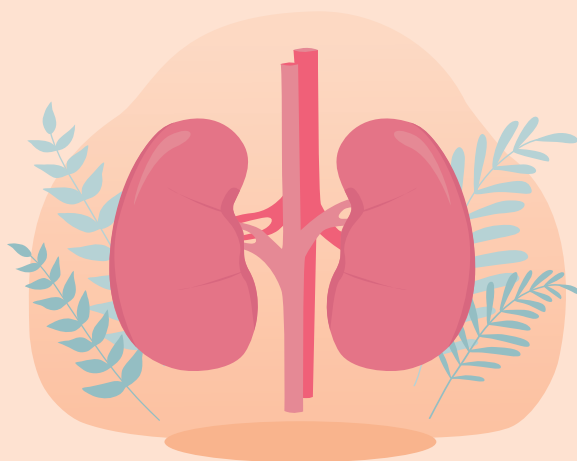
5. 患者さんにとって期待できること

この試験の結果から、C3腎症または一次性IC-MPGNの患者さんが、この病気のために普段使用している薬にペグセタコプランを追加して使用でき、効果が期待できる薬であることがわかりました。

- 尿にでるタンパクの量を減らし、腎臓の働きを一定期間保てる可能性があります。

まとめ

病気	C3腎症または 一次性免疫複合体型膜性増殖性 糸球体腎炎(一次性IC-MPGN)	治療	ペグセタコプランまたは プラセボ薬(有効成分を 含まない薬)
対象	C3腎症または 一次性IC-MPGNの患者さん 124名	試験期間	70週(約1年4ヵ月)
主な結果	6ヵ月後(パート1終了時): 普段使用している薬にペグセタコプランを 追加して使用した患者さんで、尿にでる タンパクの量が67%減少		
薬を使用した 後にみられた 体の不調	主なもの: 注射した部位の腫れやかゆみ、 下痢、かゆみ		



今回わかったこと

C3腎症または一次性IC-MPGNの患者さんが、この病気のために普段使用している薬にペグセタコプランを追加して使用すると、尿にでるタンパクの量が減ることがわかりました。尿のタンパクが減ると、腎臓の働きを一定期間保てる可能性があります。

この試験の結果は2025年に、The New England Journal of Medicine(英語)で発表されています。この要約は、臨床試験の主な結果について、社内資料も参考にしつつ、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。C3腎症または一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎の治療については、必ず担当の医師にご相談ください。