

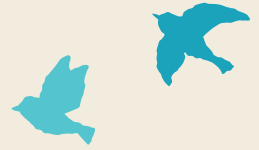
ギブラーリによる治療を 受ける患者さんへ

監修

東京都済生会中央病院 総合診療内科・脳神経内科

足立 智英 先生





はじめに

この冊子は、急性肝性ポルフィリン症(AHP*と略すこともあります)と診断され、ギブラーリによる治療を受ける患者さんに向けて、薬の特徴や投与中の副作用などについてご紹介するものです。

安心して治療を受けていただくためにも、ぜひこの冊子をご一読ください。そして、不安な点やわからないこと、もっと詳しく知りたいことがあれば、医師や看護師などの医療関係者に相談してください。

この冊子が、あなたの治療に対する理解を深める手助けになれば幸いです。

* acute hepatic porphyria

目次

- ギブラーリによる治療にあたって 3
- AHPに対するギブラーリの効果 4
- ギブラーリが作用する仕組み 6
- ギブラーリ投与中の副作用と注意点 8
- 悩みや不安があるときは1人で悩まずに相談を 10
- もっと詳しい情報を知りたい方に 11



ギブラーリによる治療にあたって

● 治療の対象となる患者さん

患者さんの症状や検査などから**急性肝性ポルフィリン症(AHP)**と診断された患者さんが対象となります。

● 治療を受けることができない患者さん

過去にギブラーリに含まれる成分で過敏症(アナフィラキシーなど)を起こしたことがある方は、この薬による治療を受けることができません。

● 投与方法

月に1回、病院で皮下注射※します。

※皮膚と筋肉の間にある皮下組織というところに注射します。



● 治療に際して特に注意すべき患者さん

妊娠している方、もしくは妊娠している可能性のある方

医師に相談してください。

授乳中の方

医師と相談の上、授乳を継続するか、もしくは中止するかを決めるようにしてください。

ギブラーリは月に1回、病院で皮下注射する薬です。

忘れずに受診するようにしましょう。

受診できなくなった場合は、すぐに病院に連絡してください。

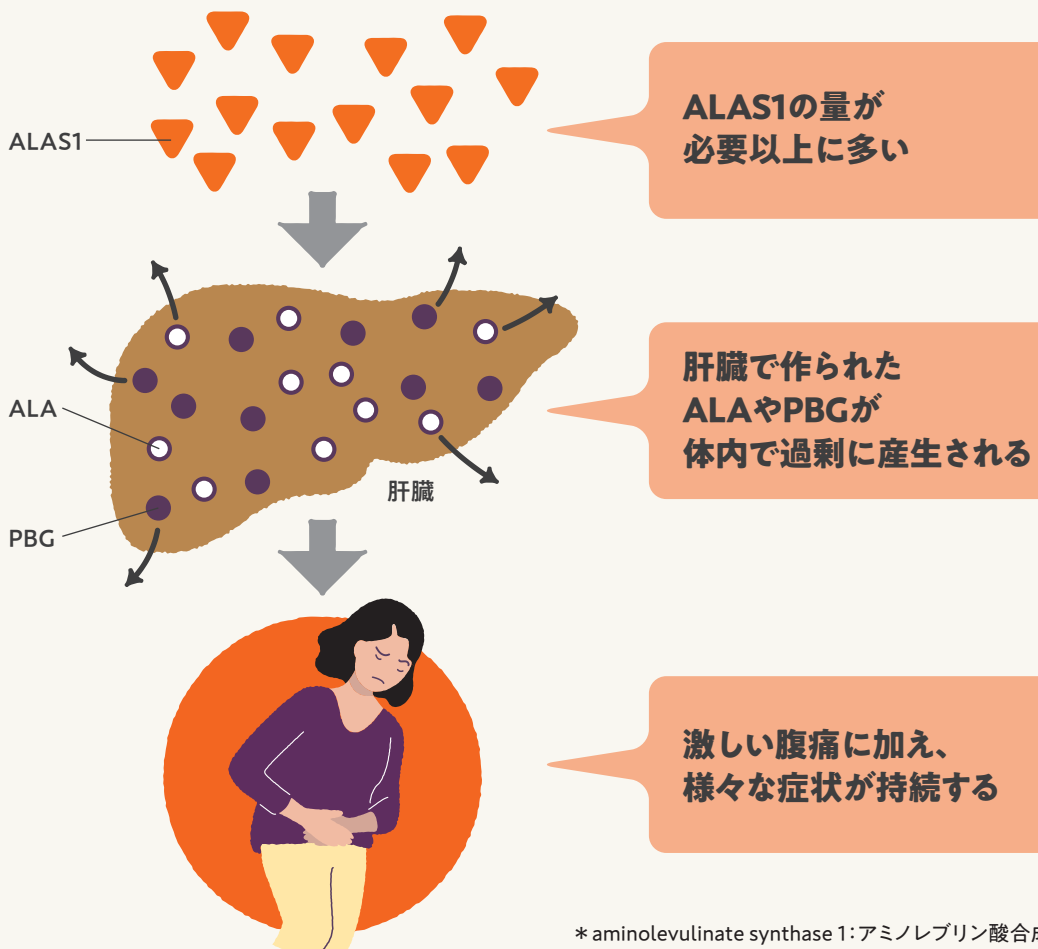
AHPに対するギブラーリの効果

AHPは、「ヘム」と呼ばれる物質を作る過程で必要な酵素(タンパク質の一種)の遺伝子に変異があることで発症する遺伝性の病気です。

AHPの患者さんは…

AHPの患者さんは、ヘムを上手く作ることができないため、それを補おうとして肝臓でヘムを作るために必要な「ALAS1*」という酵素の量が必要以上に多くなっています。

その結果、ヘムが作られる途中段階の物質[ALA(アミノレブリン酸)、PBG(ポルフォビリノーゲン)など]が体内で過剰に産生され、これらが原因となって、激しい腹痛などに加え、様々な症状が持続すると考えられています。

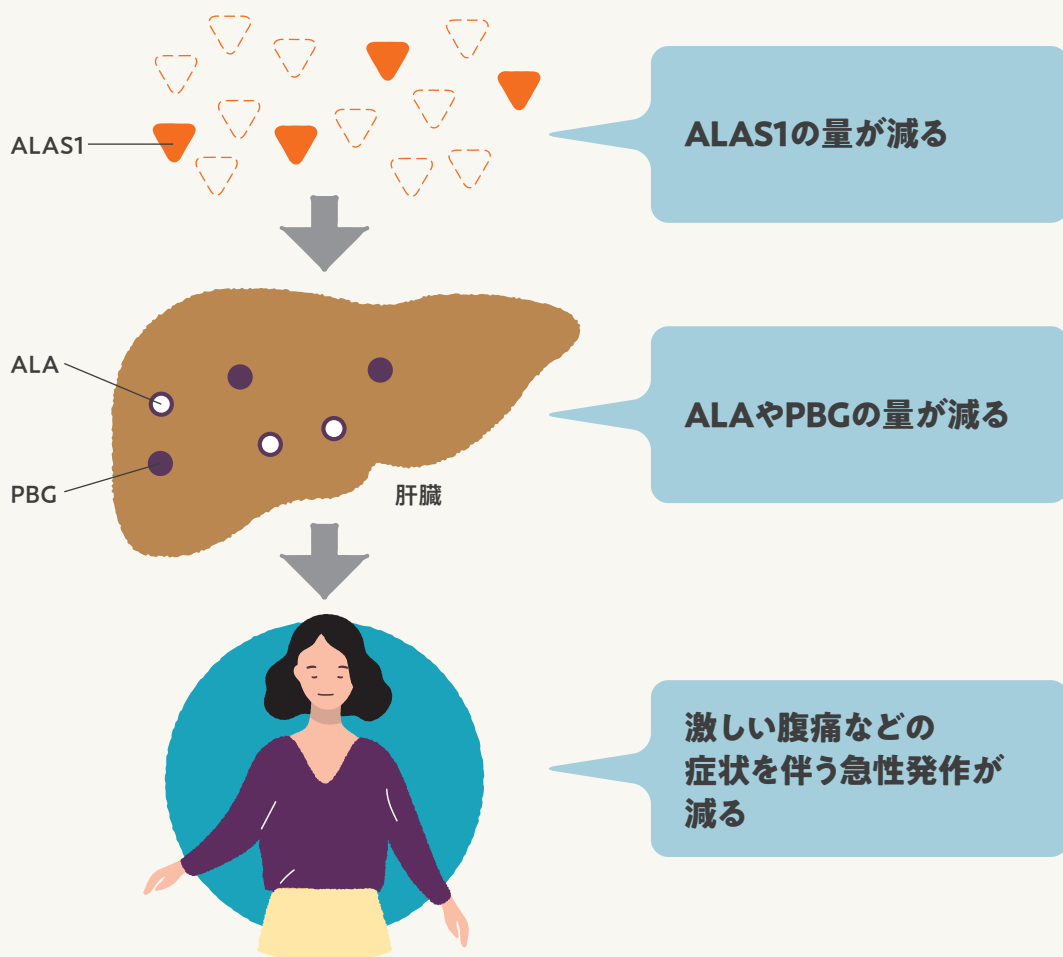


この病気では、適切な治療を行わないと、激しい腹痛に加え、手足の脱力/痛みや便秘/下痢、不安感、頻脈など様々な症状が持続することがあります。



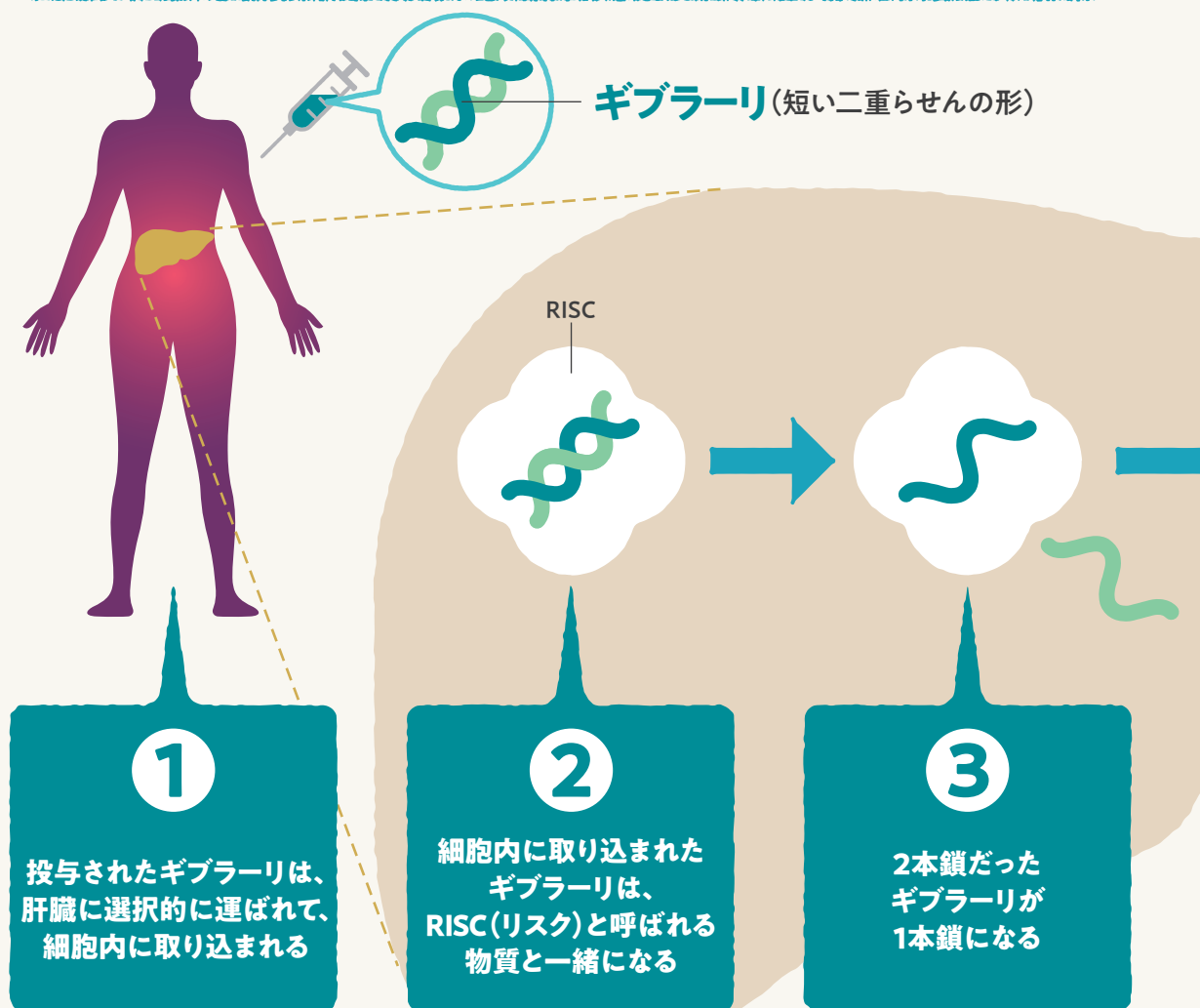
ギブラーリを投与すると…

AHPの患者さんにギブラーリを投与すると肝臓におけるALAS1の量が減ります。その結果、ALAやPBGの過剰な産生が抑えられ、ギブラーリを投与しなかった場合と比べて、激しい腹痛などの症状を伴う急性発作が減少し、この効果は、投与を継続することで維持されると考えられています。



ギブラーリが作用する仕組み

ギブラーリは、ALAS1遺伝子からALAS1を作るときの仲介役となるメッセンジャーRNAにはたらきかけてALAS1の量を減らす薬です。



ALAS1遺伝子:ALAS1を作るための情報を持った設計図

メッセンジャーRNA:遺伝子の情報を元にタンパク質を作るときの仲介役

RISC:体の中にもともと備わっているメッセンジャーRNAを切断するタンパク質

ALAS1遺伝子

ギブラーリ

ALAS1遺伝子の
メッセンジャーRNA

メッセンジャーRNAが
切断されてはたらきを失うと、
ALAS1遺伝子の情報が途切れ
ALAS1が作れなくなる

4

ALAS1遺伝子の
メッセンジャーRNAが
ギブラーリに結合し、
切断される

減る

ALAS1の量

減る

ALA、PBGの量

AHPにおける
激しい腹痛などの症状を伴う
急性発作が減る

ギブラーリ投与中の副作用と注意点

特に注意が必要な副作用

● アナフィラキシー

アナフィラキシーはアレルギー反応の一種で、多くは薬を投与した直後に、全身やのどのかゆみ、じんま疹、ふらつき、動悸、息苦しさなどの症状があらわれます。

ギブラーリを投与した場合でも、アナフィラキシーがあらわれる可能性があります。

● 肝臓や腎臓への影響

ギブラーリの投与により、肝臓や腎臓の機能に影響を及ぼすことがあります。

ギブラーリによる治療を開始する前に肝臓の機能を検査します。また、治療中は、血液検査などの検査を定期的に行い、肝臓や腎臓の機能に変化がないかチェックします。

以下の症状は、肝臓あるいは腎臓の機能が低下しているサインかもしれません。患者さんご自身で以下のような症状に気づいた場合は、すぐに医師や看護師などに伝えるようにしましょう。



上記のような症状があらわれた場合には、た

上記以外の副作用があらわれることもあります。気になる症状や体調の変化

その他の副作用

ギブラーリを投与した部位に、紅斑や発疹、腫れ、かゆみなどの症状(注射部位反応)がみられる場合があります。



また、腹痛や便秘、下痢、吐き気、嘔吐、筋力低下、疲労、のどの不快感、かぜ、頭痛などの症状があらわれることもあります。

その他の注意事項

他の医療機関を受診する場合や薬局などで他の薬を購入する場合は、この薬を使用していることを医師または薬剤師に必ず伝えてください。

だちに医師や看護師に相談してください。

など心配なことがある場合にも、医師や看護師などに相談してください。

悩みや不安があるときは 1人で悩まずに相談を

もし治療中に何か不安なことや心配なことが出てきた場合は、1人で悩まずに医師や看護師などの医療関係者に相談してください。

また、AHPは、国の難病対策の一環として、「指定難病」に位置付けられています。各都道府県に設置されている難病相談支援センター(下記参照)では、難病患者さんの療養生活に関する悩みや不安について、専門の相談員によるカウンセリングを受けることができます。



難病相談支援センターで受けられる 主なサポート



難病相談支援センターでは、主に以下のサポートを行っています。

- ① 電話、面談等による療養生活上、日常生活上の相談や各種公的手続等の相談支援。
- ② 難病患者さん等の自主的な活動等に対する支援。
- ③ 医療関係者等を講師とした難病患者さん等に対する講演会の開催。
- ④ 難病患者さんが適切な就労支援サービスが受けられるよう就労支援等関係機関(ハローワーク、障害者職業センター、就業・生活支援センター等)と連携して、就労・相談支援を実施。

難病情報センターホームページ(2022年7月現在)から引用

詳しく知りたい方は
「難病情報センター」のホームページへ

<https://www.nanbyou.or.jp/>



もっと詳しい情報を知りたい方に

疾患に関する情報

急性肝性ポルフィリン症と診断された患者さんへ

AHPの症状を引き起こす原因や遺伝のはなし、治療法、AHPとのつきあい方などについて解説している冊子があります。こちらをご参照ください。



医療費助成制度に関する情報

急性肝性ポルフィリン症患者さんのための医療費助成制度

AHP患者さんが利用できる医療費助成制度(高額療養費制度、難病医療費助成制度、小児慢性特定疾病医療費助成制度)について詳しく解説している冊子があります。こちらをご参照ください。



Webサイト

急性肝性ポルフィリン症(AHP)情報サイト

Webサイト『AHP-Info』では、上記の冊子に記載されている内容のほか、AHP患者さんご自身やそのご家族に知っておいていただきたい情報を掲載しています。順次、コンテンツを追加していく予定です。ぜひご覧ください。

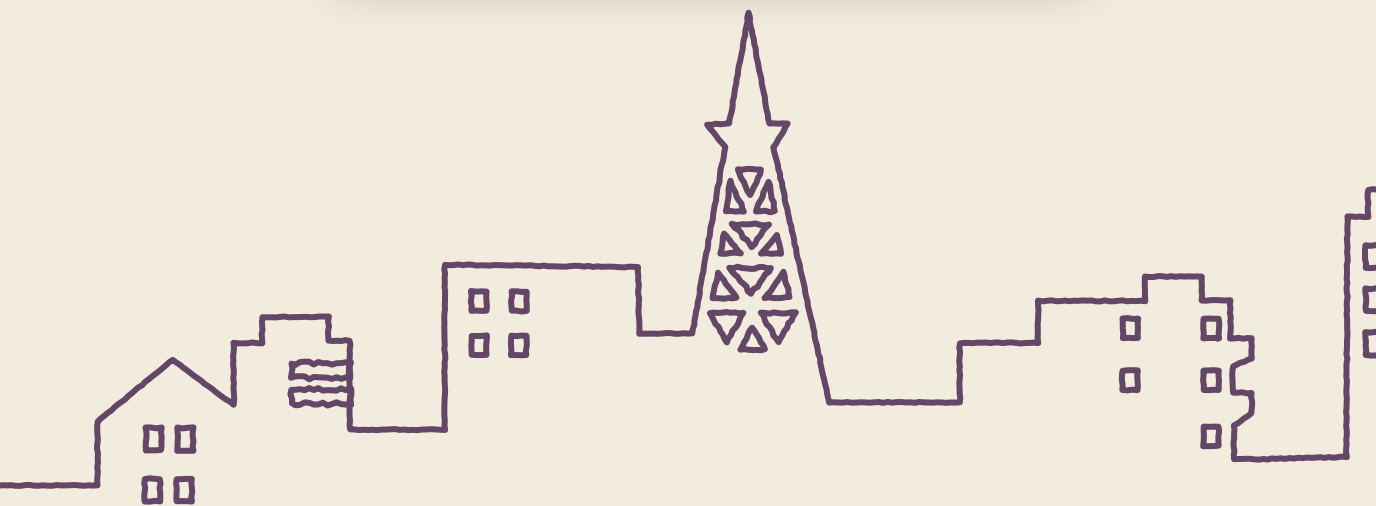


<https://ahp-info.jp/for-ahp-patients/>





医療機関名



Alnylam Japan株式会社