ALXN1215
ストレンジック皮下注 12mg/0.3mL
ストレンジック皮下注 18mg/0.45mL
ストレンジック皮下注 28mg/0.7mL
ストレンジック皮下注 40mg/1mL
ストレンジック皮下注 80mg/0.8mL

第 2 部 CTD の概要
2.2 緒言

アレクシオンファーマ合同会社

目次

頁
2.2 緒言 3

2.2 緒言

ALXN1215 は、低ホスファターゼ症（HPP）を有する患者の長期治療のための融合タンパク質である。 HPP は、著明な筋力低下、てんかん発作、腎石灰化症及び呼吸不全を含む全身的症状と骨石灰化障害を特徴とし、生命を脅かす非常に稀な先天性の骨代謝疾患である。 HPP 患者における組織非特異的アルカリホスファターゼ（TNSALP）をエンコードする遺伝子の不活化変異は、生化学的欠陥である TNSALP の酵素活性の欠乏を導く。アルカリホスファターゼ活性の減少は、無機ピロリン酸（PPi）、ピリドキサール 5'-リン酸（PLP）及びホスホエタノールアミンといった TNSALP 基質の血中濃度上昇を導く。内因性 TNSALP は、局所的に無機ピロリン酸（PPi）を切断し、無機リン酸（Pi）の濃度を増加させることによって骨の石灰化を可能にする。 その後 Pi は、カルシウムとともに沈殿してリン酸カルシウムを形成し、次に、骨の強度及び剛性を与えるハイドロキシアパタイト（HA）になる。

ALXN1215 は、精製を容易にするヒト IgG1 Fc と骨を標的とするポリアスパラギン酸塩ドメインとヒト遺伝子組換え TNSALP から構成される融合タンパク質である。これにより、先天的 TNSALP 欠乏を有する HPP 患者に対する酵素補充療法としての ALXN1215 は、低石灰化とそれに関連する全身的症状発現を防止する。 TNSALP 酵素活性の回復と骨石灰化障害の改善を通して ALXN1215 は、この先天性の生命を脅かす疾患を有する患者において、骨石灰化、くる病、成長及び運動機能、X 線画像所見、呼吸機能、および生存率を改善することが期待されている。