1 緒言

luspatercept（ACE-536、一般名：ルスパテルセプト）は、赤血球成熟促進薬であり、骨髄内の後期赤血球前駆細胞（正赤芽球）の分化の調節に関与する増殖分化因子 11（GDF11）等の TGF-β スーパーファミリーリガンドに対するリガンドトラップとして作用することで、アクチビン受容体を介した下流シグナル伝達活性化を抑制する。貧血治療薬として広く使われるエリスロポエチンは初期赤血球前駆細胞の増殖及び分化を直接刺激するのに対し、luspatercept は骨髄内に存在する後期赤血球前駆細胞の分化成熟を促進し、正常な赤血球産性能を回復させるという新規作用機序を有する。

非臨床試験及び臨床試験の成績から、luspatercept は赤血球輸血依存／非依存低リスク MDS 患者に対して良好なベネフィット・リスクプロファイルが確認され、新たな治療選択肢となることが示された。したがって、「骨髄異形成症候群（環状鉄芽球と血小板増加を伴う骨髄異形成／骨髄増殖性腫瘍を含む）に伴う貧血」を申請適応症として luspatercept の製造販売承認申請を行うこととした。

Approved v1.0