2.2 緒言

ニポカリマブは完全ヒト型 IgG1λモノクローナル抗体であり，中性（細胞外）及び酸性（エンドソーム）いずれの pH でも高い特異性及び高い親和性で新生児型 Fc 受容体（FcRn）に結合し，病原性 IgG 自己抗体を含む循環血中の IgG を減少させる。また，296 番目のアミノ酸がアスパラギンからアラニンに置換されたことにより，Fc 領域がグリコシル化を受けない特徴があり，エフェクター機能を持たない。ニポカリマブは，IgG 同種抗体又は自己抗体が原因となる疾患の治療薬として期待できる。

重症筋無力症は，IgG 自己抗体介在性の希少疾患であり，IgG による神経筋接合部のコリン作動性神経伝達阻害を病態とし，変動する筋力低下や易疲労性を特徴とする疾患である。重症筋無力症の大部分は全身型重症筋無力症（gMG）であり，眼筋，四肢近位筋，頚部筋，球筋及び呼吸筋に影響を及ぼす。（2.5.1.2.1 項）

gMG には根本的な治療がなく，多くの患者が生涯にわたって治療が必要となる。gMG 患者の大部分は，副腎皮質ステロイドや免疫抑制剤を含む標準治療薬による治療が必要であるが，一般的に効果の発現が遅く，重大な副作用リスクがある。近年，新しい gMG 治療薬として，C5 補体又は FcRn をターゲットとした薬剤が各国で承認されているが，副作用のリスクや投与レジメンに課題があり，患者の治療ニーズは完全には満たされていない。（2.5.1.2.2 項）

成人及び青年期の gMG 患者には，既存治療よりも安全かつ迅速に作用し，持続的な有効性をもたらす，利便性の高い新規薬剤に対する大きなアンメットメディカルニーズが存在する。（2.5.1.2.2 項）

ニポカリマブは，in vitro 及び in vivo 試験から得られたニポカリマブの作用機序を裏付ける複数のエビデンスに基づき，有望な gMG 治療薬の候補と考えられた。成人 gMG 患者を対象とした臨床試験（MOM-M281-011 試験），並びに青年期 gMG 患者を対象とした臨床試験（80202135MYG2001 試験　コホート 1）及びモデリング&シミュレーションに基づくアプローチから，成人及び青年期 gMG 患者に対するニポカリマブの有効性，安全性及び忍容性が確認されたため，承認申請を行うこととした。