キネレット皮下注 100 mg シリンジ

＜アナキンラ（遺伝子組換え）＞

第 2 部（モジュール 2）
CTD の概要（サマリー）

2.2　緒言

Swedish Orphan Biovitrum Japan 株式会社

Property of the SOBI group - strictly confidential

目次

略語・略号一覧.....3
2.2　緒言.....4
2.2.1　参考文献.....5

表目次

表 2.2-1　申請効能・効果及び用法・用量.....5

略語・略号一覧

略語・略号	略していない表現（英語）	略していない表現（日本語）
AOSD	Adult onset Still´s disease	成人発症スチル病
CAPS	Cryopyrin-associated periodic syndromes	クリオピリン関連周期熱症候群
COVID-19	Coronavirus disease 2019	新型コロナウイルス感染症
EU	European Union	欧州連合
FMF	Familial Mediterranean fever	家族性地中海熱
IL-1Ra	Interleukin-1 receptor antagonist	インターロイキン-1 受容体アンタゴニスト
IL-1RI	Interleukin-1 receptor type I	インターロイキン-1 受容体タイプ I
NOMID	Neonatal Onset Multisystem Inflammatory Disease	新生児期発症多臓器系炎症性疾患
sJIA	Systemic juvenile idiopathic arthritis	全身型若年性特発性関節炎

2.2 緒言

アナキンラ（遺伝子組換え）は、遺伝子組換えヒトインターロイキン-1 受容体拮抗薬（rIL-1Ra）であり、炎症性サイトカイン IL-1（IL-1α 及び IL-1β）の受容体（IL-1RI）への結合を競合的に阻害することによりその生物学的活性を遮断し、炎症を抑制する（Jamilloux et al. 2015）。本剤は海外で初めに関節リウマチ（RA）の成人患者に対する治療薬として開発され、2025 年 5 月現在、全身型若年性特発性関節炎（sJIA）及び成人発症スチル病（AOSD）を含むスチル病の治療薬として英国、欧州連合（EU）を含む世界 30 ヵ国以上で承認されている。また、諸外国で RA、クリオピリン関連周期熱症候群（CAPS）、家族性地中海熱（FMF）、インターロイキン 1 受容体拮抗分子欠損症（DIRA）、及び COVID-19 肺炎の適応症で承認されている。

スチル病は、sJIA 及び AOSD を含む全身性自己炎症性の希少疾患である。sJIA と AOSD は、発症年齢が異なるが、生物学的には単一の疾患であることはよく知られている（Jamilloux et al. 2015）。それぞれの発症年齢は、sJIA は 16 歳未満、AOSD は 16 歳以上である （Petty et al. 2004、Yamaguchi et al. 1992）。本邦では、sJIA 及び AOSD はそれぞれ指定難病とされている［sJIA：若年性特発性関節炎（JIA）として指定難病 107（難病情報センター：若年性特発性関節炎）、AOSD：指定難病 54（難病情報センター：成人発症スチル病）］。

アナキンラについて、日本小児リウマチ学会及び日本リウマチ学会から sJIA に対する未承認薬・適応外薬の要望（要望番号 IV-81）及び成人スチル病に対する未承認薬・適応外薬の要望（要望番号 IV-80）が 20[redacted] 年に厚生労働省に提出された。第 40 回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（2020 年 2 月 12 日開催）で医療上の必要性が高いと評価され、その後、公募に応じて Sobi 社が開発を開始し、日本人 sJIA 及び AOSD 患者でのアナキンラの有効性及び安全性を検討する臨床試験（Sobi.ANAKIN-303 試験）を計画した。Sobi 社の日本法人（申請者：Swedish Orphan Biovitrum Japan 株式会社）の設立が確認されたことから、2022 年 1 月 [redacted] 日に厚生労働省から申請者に対し、sJIA（[redacted]）及び AOSD（[redacted]）についてアナキンラの開発要請が出された。

今般、国内第 3 相試験（Sobi.ANAKIN-303 試験）において、本剤の sJIA 及び AOSD に対する有効性及び安全性が確認されたこと、また得られた成績は海外で実施された試験成績とも一貫していたことから、「全身型若年性特発性関節炎」、「成人発症スチル病」を効能又は効果としてキネレット皮下注 100 mg シリンジの製造販売承認申請を行うに至った。なお、本薬は 2025 年 6 月 27 日に「全身型若年性特発性関節炎、成人発症スチル病」を予定される効能又は効果として、希少疾病用医薬品に指定されている（指定番号：（R7 薬）第 707 号）。

表 2.2-1　申請効能・効果及び用法・用量

申請区分	医療用医薬品（1）新有効成分含有医薬品
申請効能・効果	○全身型若年性特発性関節炎 ○成人発症スチル病
申請用法・用量	通常、アナキンラ（遺伝子組換え）として、体重に応じて以下を皮下投与する。 体重50 kg以上：1回100 mgを、1日1回 体重50 kg未満：体重1 kgあたり1回2 mgを1日1回、なお、16歳未満の患者においては、効果不十分な場合は、体重1 kg当たり1回最大4 mgまで増量できる。

2.2.1　参考文献

Jamilloux, Y, Gerfaud-Valentin M, Martinon F, Belot A, Henry T, Sève P. Pathogenesis of adult-onset still's disease: New insights from the juvenile counterpart. Immunol Res. 2015;61(1-2):53-62.

Petty RE, Southwood TR, Manners P, Baum J, Glass DN, Goldenberg J, et al. International league of associations for rheumatology classification of juvenile idiopathic arthritis: Second revision, edmonton, 2001. J Rheumatol. 2004;31(2):390-392.

Yamaguchi M, Ohta A, Tsunematsu T, Kasukawa R, Mizushima Y, Kashiwagi H, et al. Preliminary criteria for classification of adult Still’s disease. J Rheumatol. 1992;19(3):424-430.

難病情報センター. 2024. 若年性特発性関節炎（指定難病 107）
https://www.nanbyou.or.jp/entry/3946（アクセス日：2025 年 6 月 27 日）

難病情報センター. 2024. 成人発症スチル病（指定難病 54）
https://www.nanbyou.or.jp/entry/282 （アクセス日：2025 年 6 月 27 日）