



報道関係者各位

2023年1月23日

アムヴトラ®により治療中の患者さんへのサポートプログラム「にちにち相談室」を開始

-専任看護師が患者さんやご家族の想いや悩みに寄り添い、前向きな治療をサポートする-

Alnylam Japan 株式会社(本社:東京都千代田区、代表取締役社長 岡田裕、以下「アルナイラム」)は、本日、トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー¹(TTR-FAP)と診断され、「アムヴトラ®皮下注 25mg シリンジ」(一般名:ブトリシランナトリウム、以下、「アムヴトラ」)により治療されている患者さんとそのご家族を対象に、前向きに治療を受けられるよう支援するサポートプログラム「にちにち相談室」を開始いたします。

TTR-FAP は、TTR 遺伝子の変異が原因で生じる進行性の難治性疾患で、発症すると感覚障害、運動障害、自律神経障害や心障害などの様々な症状をきたし、死に至ることも多い疾患です。しかしながら、TTR-FAP は希少疾患であるため、社会における認知度は低く、患者さんによっては、悩みを分かち合えず不安を感じたり、気分が落ち込んだり、治療に対して継続したモチベーションを持ち続けられない方もいます。

本プログラムを通じて、アムヴトラにより治療される患者さんとそのご家族を対象に、疾病や薬剤、医療費の助成などを含む社会保障制度に関する情報を提供します。十分な知識を備えた専任看護師²が継続して担当し、電話、LINE またはビデオ通話にて治療や通院状況などについて定期的に連絡し、受診時に分からなかったことや聞き渡らしたことなど相談いただけます。また、プログラム名の由来である日日草の花言葉の一つである「愛する人を励ます」のように、「にちにち相談室」は患者さんが前向き安心して治療を継続できるよう、日常生活における悩みや疑問などもサポートします。なお、本プログラムへの参加・利用は無料ですが、事前の参加同意が必要となります。

アルナイラムの代表取締役社長、岡田裕は、「私たちの使命は、革新的な RNAi 技術を用いた治療薬を患者さんにお届けすることにとどまらず、このようなサポートプログラムを通じて、治療中の患者さんの不安や悩みが少しでも軽減され、生活の質の向上ならび前向きに治療に向き合うための支援にも取り組んでいます。「にちにち相談室」はアムヴトラにより治療中の患者さんにとって、様々な課題を解決する一助となることを願っております」

AMV-JPN-00258 | January 2023

¹ポリニューロパチー:多発神経障害

²正看護師資格を有し、「にちにち相談室」ご利用者を継続的にサポートする看護師

アムヴトラ®(ブトリンランナトリウム)について

アムヴトラは、標的となる特定のメッセンジャーRNA (mRNA)を分解し、野生型および変異型 TTR タンパク質が作られる前にその産生を阻害するように設計された RNAi 治療薬です。本剤は、アルナイラムの ESC-GalNAc コンジュゲート技術を基盤としたドラッグデリバリープラットフォームを採用しており、高い有効性と代謝安定性を実現することで、3 カ月に 1 回の皮下投与を可能にするように設計されています。またブトリンランは、遺伝性 ATTR (hATTR) および野生型 ATTR (wtATTR) アミロイドーシスの両方を含む心筋症を伴う ATTR アミロイドーシス治療のために研究開発されました。

トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー (TTR-FAP) について

トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチーは、遺伝性 ATTR アミロイドーシス、FAP (Familial Amyloid Polyneuropathy) とも呼ばれています。TTR 遺伝子の変異が原因で生じる進行性の難治性疾患で、死に至ることも多い疾患です。TTR タンパク質は主に肝臓で産生され、ビタミン A の輸送体として働きます。TTR 遺伝子に変異が生じると、異常なアミロイドタンパク質が蓄積して、末梢神経や心臓などの臓器・組織を傷つけ、治療が難しい末梢神経障害、自律神経障害および／または心筋症などを引き起こします。トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチーの患者数は全世界で約 5 万人おり、障害発生率と死亡率はきわめて高く、大きなアンメットニーズが存在します。トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチーの診断からの生存期間の中央値は 4.7 年で、心筋症を発症する患者さんでは 3.4 年とさらに短くなっています。

RNAi について

RNAi (RNA interference: RNA 干渉) は、遺伝子発現抑制 (サイレンシング) という細胞内の自然なプロセスであり、現在、生物学と創薬において最も期待され急速に進歩している最先端領域の一つです。RNAi の発見は「10 年に 1 度の画期的な科学の前進」とされ、その功績に対して 2006 年にはノーベル生理学・医学賞が贈られています。RNAi 治療薬は、細胞内で生じるこの自然な生物学的プロセスを利用した新しい作用機序を持つ薬剤として誕生しました。RNAi の作用機序は、アルナイラムの RNAi 治療薬のプラットフォームである siRNA (small interfering RNA: 低分子干渉 RNA) が、疾患に関与するタンパク質をコードするメッセンジャーRNA (mRNA) の発現を抑制 (サイレンシング) することで、そのタンパク質の産生を阻害するというものです。RNAi 治療薬は、遺伝子疾患などの治療法を変える可能性が示唆されている新たなアプローチです。

Alnylam Japan 株式会社について

Alnylam Japan 株式会社 (<https://www.alnylam.jp/>) は、次世代の医薬品として注目される核酸医薬の一つである RNAi 治療薬を日本の患者さんに提供するため、2018 年 7 月に設立されました。RNAi 治療薬は、従来はターゲットにできなかった標的分子に選択的に作用することで、これまで治療が困難だった疾患の新たな治療選択肢となる可能性があります。RNAi 技術を応

用して、mRNA を標的として開発された世界初の siRNA 製剤オンパットロは、当社が日本国内で 2019 年に上市・販売した最初の製品です。2021 年には、2 成分目となる siRNA 製剤ギブラーリ、2022 年 11 月には 3 成分目となるアムヴトラを上市・販売しています。当社は、医療の未来を切り拓く可能性のある新しい治療薬の開発に取り組み、アンメットニーズの解消に貢献することを目指しています。

Alnylam Pharmaceuticals 社について

Alnylam Pharmaceuticals 社 (Nasdaq:ALNY) は、RNAi 技術を、遺伝性希少疾患、循環器・代謝系疾患、肝感染症、および中枢神経系・眼科疾患の患者さんの治療や生活の質を改善することが期待される医薬品に応用するリーディングカンパニーです。RNAi 治療薬はノーベル賞を受賞した科学に基づいており、アンメットニーズの高い難治性疾患を臨床的に実証されたアプローチで治療するものです。当社は、2002 年の設立以来、RNAi 治療プラットフォームにより、科学的可能性を現実のものにするというビジョンを掲げています。当社の製品である RNAi 治療薬には、「オンパットロ®」(パチシランナトリウム)、「ギブラーリ®」(ギボシランナトリウム)、lumasiran (国内未承認)のほか、アルナイラム社のパートナーであるノバルティス社が開発と商業化を担う inclisiran (国内未承認)があります。当社は、開発後期段階にある 6 つの製品候補を含む、充実したパイプラインを有しています。今後も引き続き、希少疾患と一般的な疾患の両方に対して変革をもたらす治療薬を生み出すことを目標とした「アルナイラム P⁵x25」戦略を遂行し、持続可能なイノベーションと優れた財務実績を通して世界中の患者さんに貢献します。その結果としてバイオ医薬品のリーディングカンパニーとして認知されることを目指します。当社はマサチューセッツ州ケンブリッジに本社を置いています。詳細は、弊社ウェブサイト www.alnylam.com、Twitter@[Alnylam](https://twitter.com/Alnylam)、または [LinkedIn](#)、[Instagram](#) でご覧ください。

###

本プレスリリースに関する問い合わせ先:

アルナイラム・ジャパン広報代理 ウェーバー・シャンドウィック
シャオイン・レオン / 中川

Tel: 070-4445-5618

Mail: alnylam_jp@webershandwick.com