

スピンラザを使用される患者さんへ

# 脊髄性筋萎縮症 (SMA) の 治療継続に悩んでいる あなたへ

監修 国立研究開発法人 国立国際医療研究センター病院  
小児科 瓜生 英子 先生



この物語はフィクションです。

私は中学2年  
小さいときに  
脊髄性筋萎縮症  
(SMA III型)  
と診断されて  
1年前から  
治療を始めた



病気のことは  
友達みんなが  
知っているけど  
普通に接してくれるし  
必要なときは  
手を貸してくれる

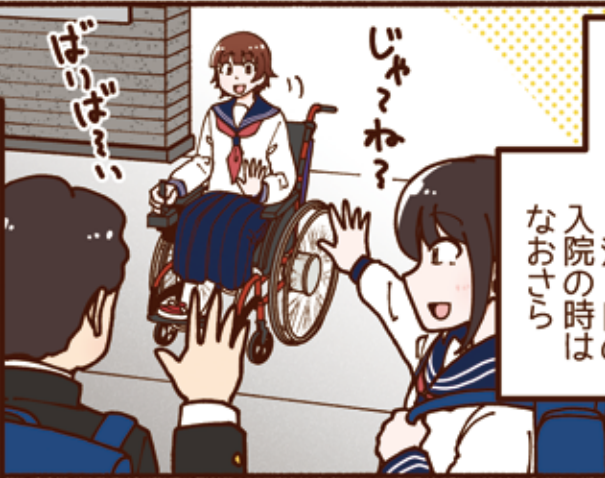


勉強も部活も楽しくて



すぐに時間が  
過ぎてしまう

だから最近  
学校を休んで  
病院に行くのが  
だんだんイヤに  
なってきた



2泊3日の  
入院の時は  
なおさら

だって、私だけ  
友達と一緒に  
過ごせないんだもん

まなよ



今度の月曜から  
また入院だから  
忘れ物とか  
気を付けてね

う〜ん…

だいぶ注射には  
慣れたみたいだけど  
どう？



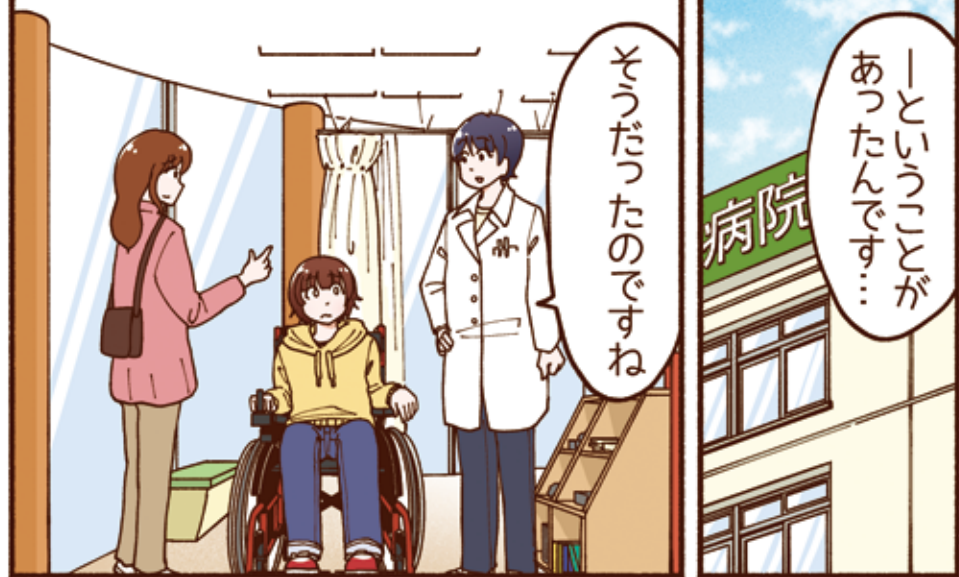
まあ注射には  
慣れたけど…  
もう1年以上  
治療してるし  
病院に通うの  
やめられない  
かな…

まなは、あんまり  
病院に行きたく  
ないの？



病院がイヤって  
わけじゃないんだけど…

電車で通うのも大変だし、  
学校休むと友達と  
会えないし…



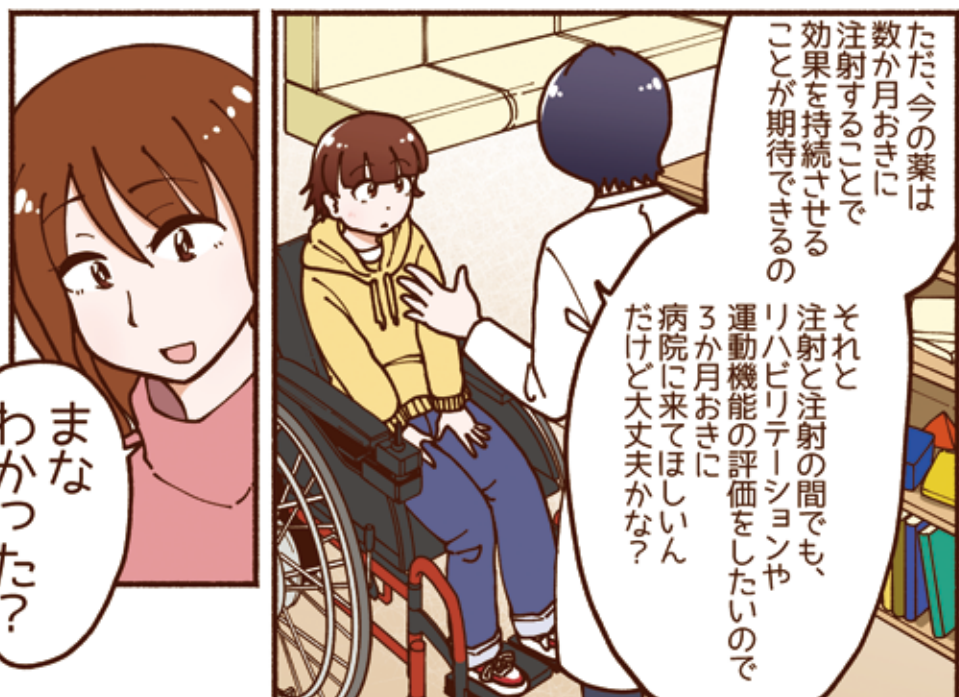
そうだったのですね

ーというところが  
あったんです…



まなさん  
だって

病院より  
友達と一緒の  
ほうが  
いいよね



ただ、今の薬は  
数か月おきに  
注射することで  
効果を持続させる  
ことが期待できるの

それと  
注射と注射の間でも、  
リハビリテーションや  
運動機能の評価をしたいので  
3か月おきに  
病院に来てほしいん  
だけど大丈夫かな？

まな  
わかった？



病院の先生は

リハビリも  
あるから

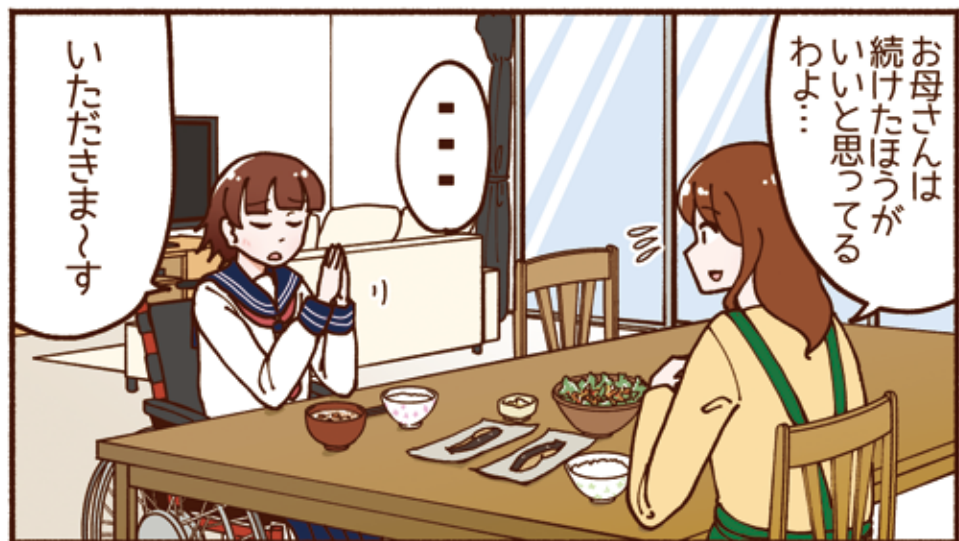
3か月おきに  
来てください

って言うってたけど…



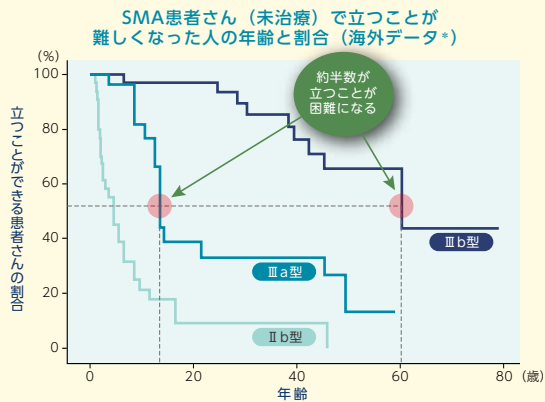
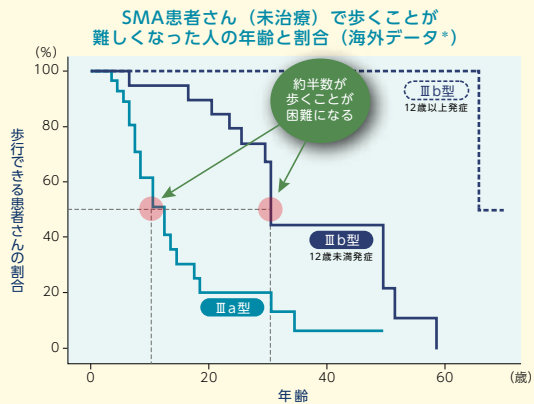
なんかいろいろ  
もつたいない  
つていうか…

注射つて  
やつぱり  
続けないと  
いけない  
のかなあ…



お母さんは  
続けたほうが  
いいと思うてる  
わよ…

いただきます



II b型：生後6ヵ月以降18ヵ月までに発症。  
座った姿勢を保てる、立位保持、歩行は介助すればできる。  
III a型：生後18ヵ月以降3歳までに発症。歩行はできる。  
III b型：3歳以降に発症。歩行はできる。

対象・方法：遺伝学的にI～IV型SMAと診断された患者さん200名が、座位保持機能、立位保持機能、歩行機能、自発呼吸機能などを失った年齢を調査した。

\* Wadman RI, et al.: J Neurol Neurosurg Psychiatry. 2017;88(4):364-367. より作成

だから治療を止めてしまうと  
治療によるまなさんの  
今の身体の状態を  
維持していくことは

だんだん難しくなる  
可能性が  
あります



…でも、注射したら  
歩けるように  
なったらいいな  
って思ったけど…

そんなに  
よくなってる  
気がしないし…



そんなこと言わないで  
治療前と変わったことを  
思い出してみようよ

ありがとう  
まなさん

言いづらかったと  
思うけど  
本当の気持ちを  
話してくれて

先生も率直に  
説明するね



まなさんが  
受けている  
スピリテザという注射は  
運動神経の働きを  
維持・改善するための  
薬ということはあると  
思います

まなさんが  
治療している  
SMAという病気は  
少しずつ進んでいく  
病気です

それは前に  
聞いたような  
気がします…



さすが、まなさん



もう一つ、「思ったほどよくなった気がしない」っていつてたけど

本当は変わっている機能もあるのにまなさんが気づいてないだけかもしれないと思って



他の患者さんだと

声の大きさ

着替えにかかる時間

座っていられる時間

かぜをひく回数

髪のとかしやすさ

といった変化に注目しているみたいです



理学療法士の先生から

ひじやひざを曲げる力が少しずつ変わってるって言われたことはなかったですか



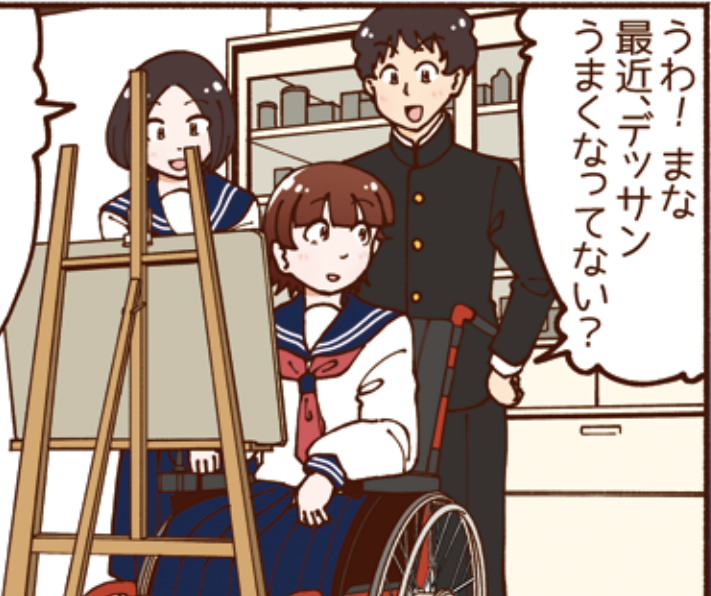
最近では学校から帰っても

「つかれた」って言わなくなったし



うわ！まな最近、デッサンうまくなってるない？

ほんとだ！線がはつきりして勢いが出てきた感じ！



そういえば学校で…





期待していた変化が  
感じられないという  
現実を、まなさんが  
受け止めるのは  
簡単ではないと思います

でも、まなさんのやりたこと  
少しでも実現できるように  
できるだけサポートして  
いきたいというのが  
私たち医師や  
病院スタッフの  
全員の気持ちです



今でも  
学校を休んでいる間  
友達に会えないのは  
さびしい

この問題  
わかる人

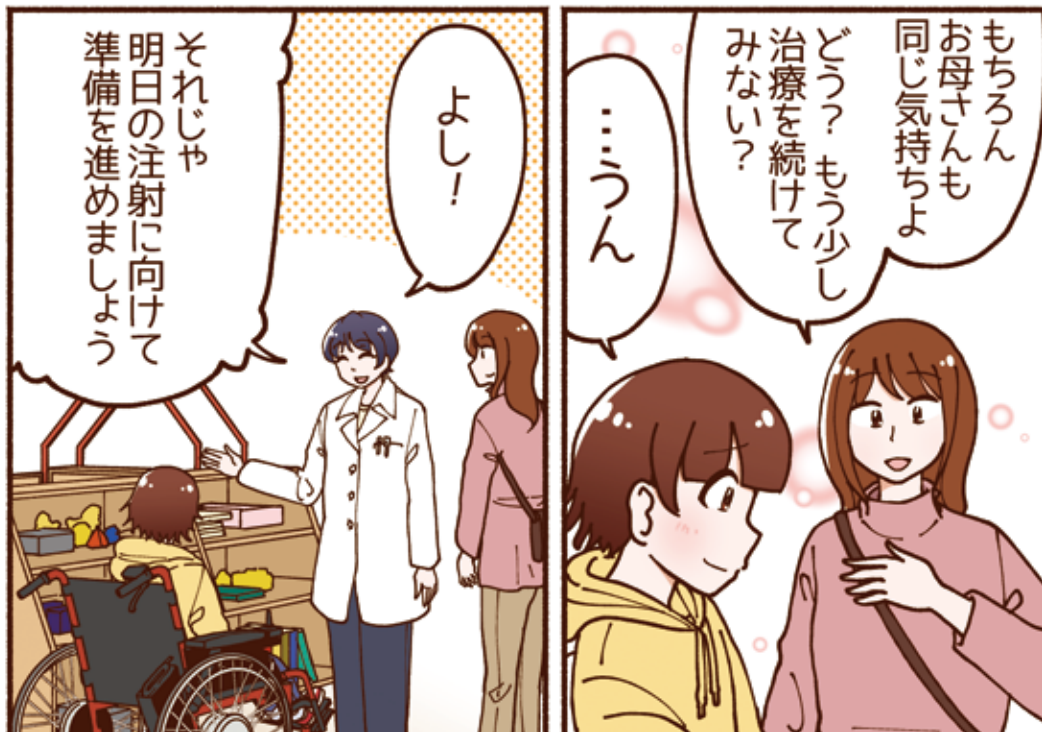
はいっ！

けれど学校で友達と  
楽しい時間を  
過ごすためには  
治療が大切、  
ということも  
前よりも  
納得できたような  
気がする



辺 a b は 辺 b c c  
垂直に交わって right...

それに  
たくさん先生や  
スタッフさんたちが  
応援してくれて嬉しい

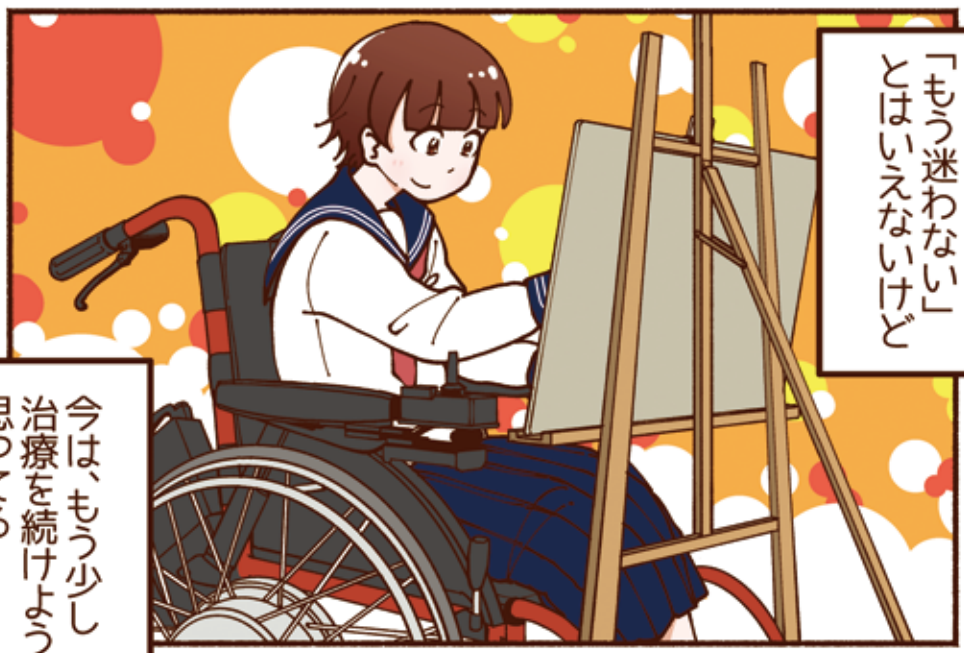


もちろん  
お母さんも  
同じ気持ちよ  
どう？ もう少し  
治療を続けて  
みない？

...うん

よし！

それじゃ  
明日の注射に向けて  
準備を進めましょう



「もう迷わない」  
とはいえないけど

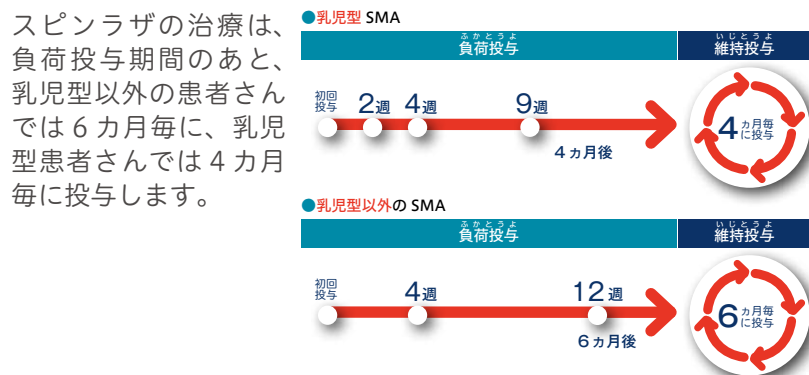
今は、もう少し  
治療を続けよう  
と思ってる

## 2 スピラザについて

### ▶ スピラザの作用

スピラザは、米国で開発された世界初の SMA 治療薬です。SMA 患者さんで不足している SMN タンパク質を増やすことによって、運動神経の働きを保ち、筋肉や運動機能を保つことを助けます。スピラザは、背中から腰椎の間に注射し髄腔内に投与することで、直接 SMA の病変に届きます。

### ▶ スピラザの投与スケジュール



### ▶ スピラザの安全性

スピラザの臨床試験などで報告されている安全性情報は、次の通りです。

- ・乳児型（主にⅠ型）の SMA 患者さんを対象に行われたスピラザの臨床試験では、安全性評価対象例 80 例中 9 例（11.3%）に副作用が認められました。主な副作用は発熱（2.8%）であり、その他頻脈、貧血母斑、蜂巣炎、処置後腫脹、眼振、血管炎、体温低下、体温上昇（各 1.4%）でした。
- ・乳児型以外（主にⅡ型又はⅢ型）の SMA 患者さんを対象に行われたスピラザの臨床試験では、安全性評価対象例 84 例中 24 例（28.6%）に副作用が認められました。主な副作用は頭痛 8 例（9.5%）、背部痛 7 例（8.3%）、発熱 6 例（7.1%）、嘔吐 2 例、腰椎穿刺後症候群 2 例（各 2.4%）でした。
- ・重大な副作用として、水頭症があらわれることがあるので、観察を十分に行います（頻度不明）。
- ・スピラザはアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤ですが、海外で、他のアンチセンスオリゴヌクレオチド製剤で血液凝固異常、血小板減少や腎障害が報告されています。
- ・注射（腰椎穿刺）関連の症状  
注射（腰椎穿刺）に関連して、以下の症状があらわれることがあります。スピラザの投与後、24 時間はこれらの症状が起きないかどうか、注意して観察を行います。退院後に、これらの症状があらわれた場合には、医療機関にご相談ください。

足のしびれ、うずき、血液の漏出または注射部位の痛み、排尿障害、頭痛、背部痛、発熱、嘔吐、意識障害

## 1 脊髄性筋萎縮症（SMA）について

### ▶ SMA は進行性の病気

SMA は、運動するときに使う筋肉をコントロールする神経が少しずつ減っていき、筋力が弱くなっていったり、運動機能が失われていったりする**進行性の病気**です。

その原因は、*SMN1* という遺伝子が変化していることによって、神経を維持するのに必要な **SMN タンパク質を十分に作る事ができない**ために起こります。

### ▶ SMA のタイプ

SMA は、症状が出始める年齢と、できるようになった運動機能によって大きく 4 タイプに分類されます。

タイプ	症状が出始める年齢	到達できる最も高い運動機能	
I 型	生後 0～6 カ月	お座りできない	乳児型 SMA
II 型	生後 7～18 カ月	座った姿勢を保てる (立つことができない)	
III 型	生後 18 カ月以降	支えなしで歩ける (徐々に、歩けなくなっていくこともある)	乳児型以外の SMA
IV 型	青年期後期/成人期	運動発達は正常範囲	

### ▶ SMA の症状の例（出典：バイオジェン社内資料）

SMA の症状は、タイプや年齢によって人それぞれです。筋力の低下が学校生活や社会生活に影響が出ることがあります。

#### < II 型 大学生の例 >

- ・疲労感のために、講義や食事の途中で車いすの上で横になってしまう
- ・講義の最後までしっかりと文字を書くことが難しくなる

#### < III 型 社会人の例 >

- ・疲労感のために、フルタイムの仕事が難しくなる
- ・自分で髪をとかしたり、歯を磨いたりするのが難しくなる

## 4 SMAについて、もっと詳しく知りたいときは？

SMA やスピラザについて、次の Web サイトや SNS、コールセンターでも詳しく紹介しています。ぜひご覧になってみてください。

### ▶ スピラザ治療に関する情報はこちら

スピラザについて解説しているサイトです。スピラザが作用する仕組みの説明動画も掲載しています。



<https://www.pat.spinraza.jp/>

### ▶ SMA に関する情報はこちら

**TOGETHER IN SMA™**  
脊髄性筋萎縮症 (SMA) とともに  
SMA について様々な情報を紹介する Web サイトです  
SMA とともに

<https://www.togetherinsma.jp/>

**SMA 情報ダイヤル**  
SMA に関するご質問をお電話でお受けしています  
  
月～金曜日 9:30-17:30 (年末年始・祝祭日を除く)

**SMA 病院検索サイト**  
SMA に関するご相談ができる病院を紹介しています  
   
supported by

### ▶ バイオジェン・ジャパン公式ソーシャルメディア

SMA に関することなど、さまざまな情報を定期的に紹介しています。

**Twitter**  
@BiogenJapan

**Instagram**  
@biogenjapan

**Facebook**  
@BiogenJapan

**LinkedIn**  
@Biogen-

**YouTube**  
バイオジェン

## 3 治療の悩みや相談があるときは？

気になることや、不安・不満に思っていることは、遠慮せずに主治医や理学療法士の先生に相談してみましょう。

スピラザの治療は長期間続けていくものとなります。あなたのこれからの治療を続けやすくするために、どのようなサポートが必要か、何があなたにとって負担となっているのか、一緒に考えてみませんか。まずはあなたが思っていることを主治医や理学療法士の先生、保護者に相談してみましょう。

「こんなことを言っても仕方がない」「がまんするしかない」などと思わずに、あなたの素直な気持ちを周りの人に伝えてみてください。

### 【相談例】

- ・実は、スピラザの注射が怖いです。
- ・点滴の針を取るのが痛いです。
- ・入院中にながく点滴を入れているのがわずらわしいです。
- ・スピラザの注射の時の入院日数を短くできないですか？
- ・学校を休みたくないで、週末に治療はできませんか？
- ・リハビリの時間をもっと短くできないですか？
- ・なぜリハビリが必要なんですか？
- ・薬の治療とリハビリのどちらかだけではだめですか？
- ・いつまで治療を続けるのでしょうか？
- ・これから進学したり就職したりしても、ずっとこの病院に通い続けるのでしょうか。

…など



あなたの気持ちや希望を書いてみましょう

---

---

---





© Rie Kubo

「愛あふれる」  
イラスト：くぼりえ  
<http://kuborie.com>

くぼりえさんについて

大阪府在住のフリーイラストレーター・絵本作家です。  
SMA II 型のため、24 時間全介護が必要で、夜間のみ人工呼吸器を使用し、車椅子を使って生活しています。  
(この冊子のストーリーと、くぼりえさんにご関係はありません。)

資料請求先

**バイオジェン・ジャパン株式会社**  
〒103-0027 東京都中央区日本橋一丁目4番1号

2020年5月作成  
Biogen-54777  
SPI122AR01