

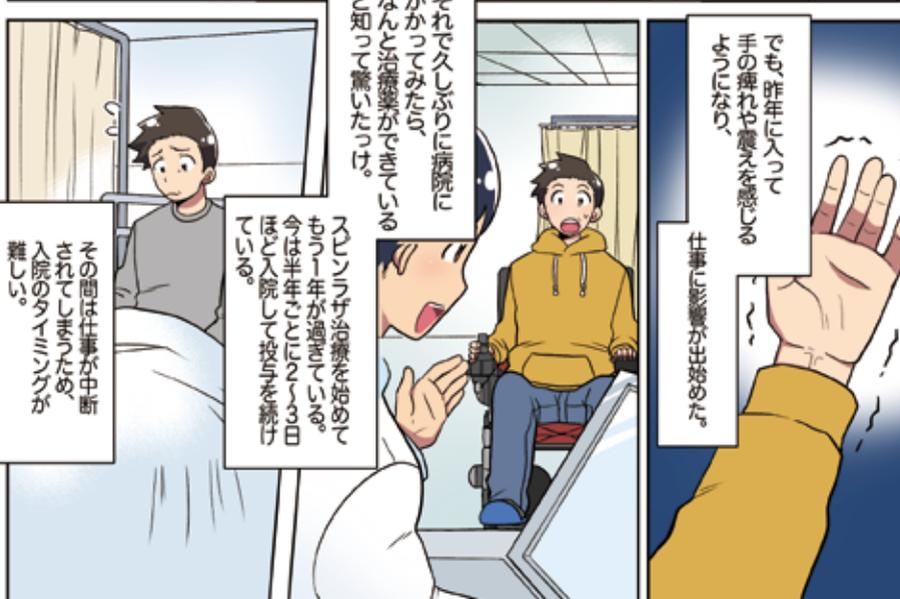
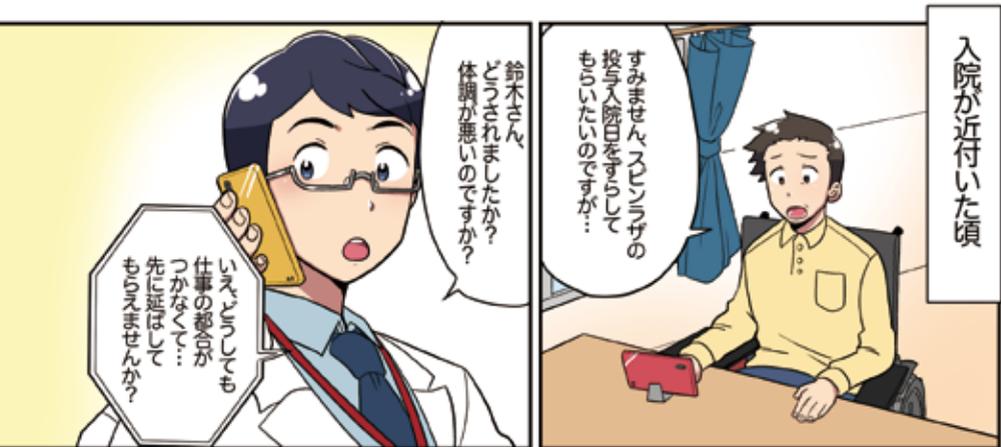
スピンラザを使用される患者さんへ

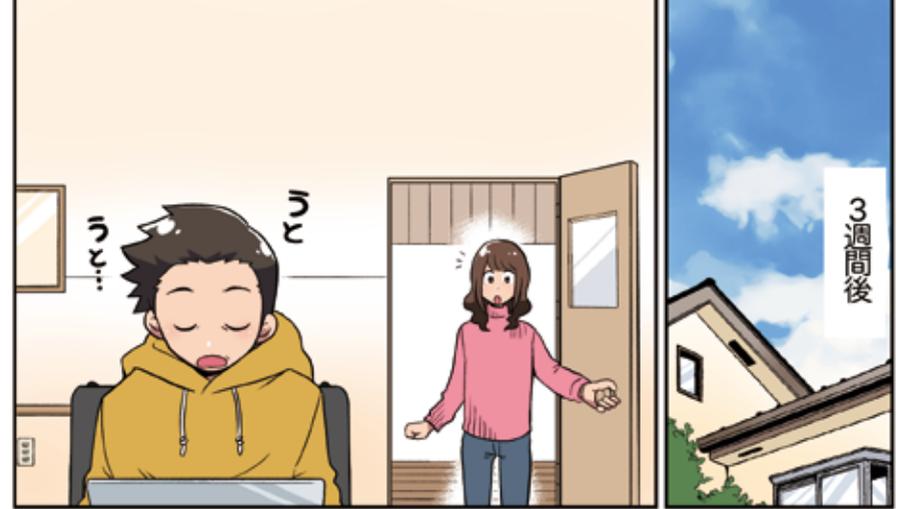
# 脊髄性筋萎縮症 (SMA) 治療薬 スピンラザの投与スケジュール について

監修 神戸市立医療センター中央市民病院 脳神経内科  
部長 川本 未知 先生 / 副医長 藤原 悟 先生



この物語は、事実に基づくフィクションです。個人の感想です。



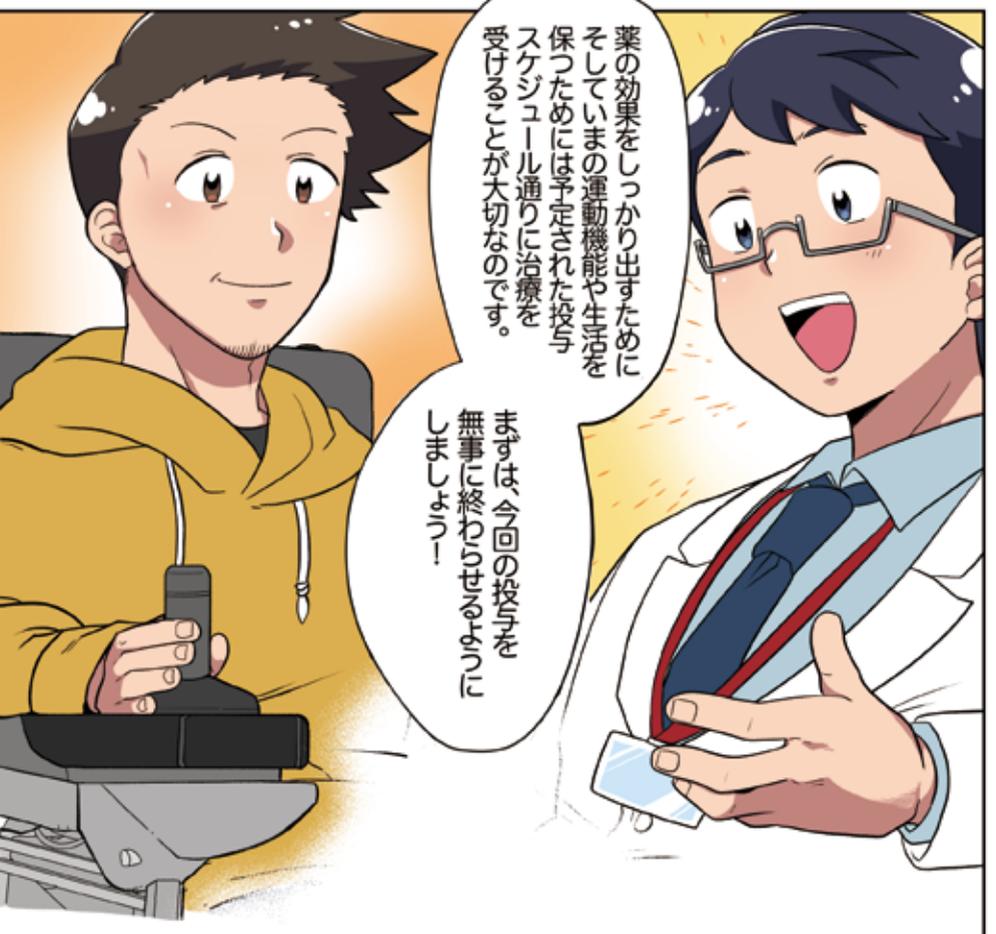




鈴木さんは薬の効果があり  
安定されていますので、  
そう思うのも無理はありません。

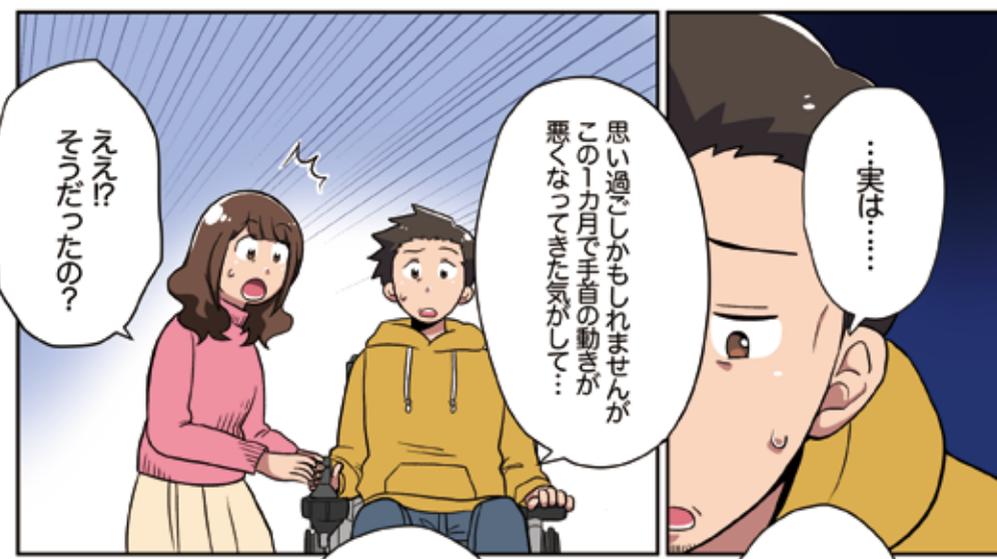
でもスライムサという薬は  
定期的に投与することで  
脳脊髄液中の薬の濃度が  
安定して治療効果が期待  
できるのよ。

そだったのか…  
少しくらい大丈夫だろうと  
軽く考えていました…



薬の効果をしっかりと出すために  
そしていまの運動機能や生活を  
保つためには予定された投与  
スケジュール通りに治療を  
受けることが大切なのです。

まずは今回の投与を  
無事に終わらせたいですね  
しまじゅー！



…実は…

思い過ぎかもしれませんが  
この1カ月で手首の動きが  
悪くなってきた気がして…

ええ!?  
そだったの?



そでしたか…  
それはご心配されたこと  
思います。

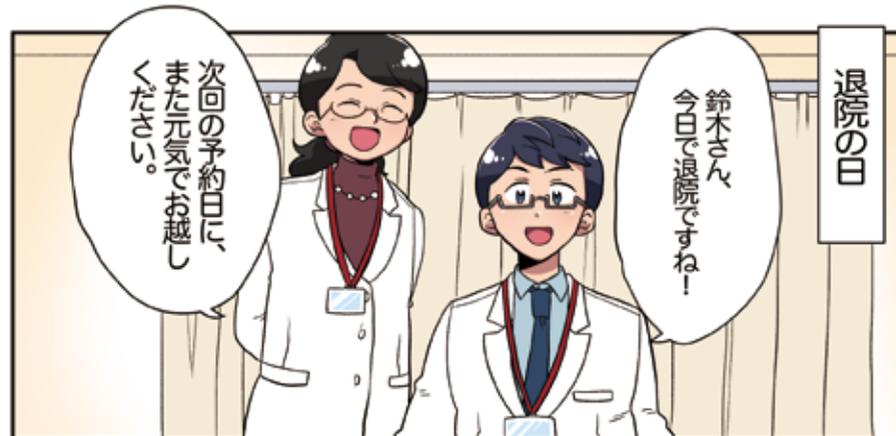
もしかすると今回  
投与スケジュールが遅れ、  
投与間隔が長くなったことで  
影響が出たのかもしれない。

えっ、でもたった  
1カ月遅れただけ  
ですよ?



現在のコロナ禍では、医療機関の現状や患者さんのご意志で治療が遅れるケースもあるかもしれません。

ですが、私たちはこうした状況下でも可能な限り治療スケジュールを予定通りにできるように努力しています。



退院の日

鈴木さん、今日で退院ですね！

次回の予約日に、また元気でお待ちしております。



もちろん、お仕事の都合がつかない時は相談してください。できるだけ早く次の投与日を設定しますので。

お仕事も治療も、鈴木さんの人生を豊かにするためには欠かせないものですね。

鈴木さんご自身では気付きにくいかもしれませんが、SMAは長年にわたって症状が進んでいく病気です。

治療をしていないSMA患者さんの自然経過の例 (イメージ図)\*

- 腕をあげることができる
- ↓
- ひじから先しかあげられない
- ↓
- 手首しか自由に使えない

年に2回、しっかりと通院して今の運動機能と生活を保てるよう、一緒に治療を続けていきましょうね！

\* SMAのタイプや個人によって経過はそれぞれ異なります



## 2 スピンラザについて

### ▶ スピンラザの作用

スピンラザは、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。スピンラザは、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。

### ▶ スピンラザの投与スケジュール

スピンラザの治療は、負荷投与期間のあと、乳児型以外の患者さんでは 6 カ月毎に、乳児型患者さんでは 4 カ月毎に投与します。

#### ● 乳児型 SMA



#### ● 乳児型以外の SMA



私の投与スケジュールは…



次回の投与日 \_\_\_\_\_ 年 \_\_\_\_ 月 \_\_\_\_ 日

次々回の投与日 \_\_\_\_\_ 年 \_\_\_\_ 月 \_\_\_\_ 日

## 1 脊髄性筋萎縮症 (SMA) について

### ▶ SMA は進行性の病気

SMA は、運動するときを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**ことができないために起こります。

### ▶ SMA のタイプ

SMA は、症状がはじめる年齢と、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	症状がはじめる年齢	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	

Lunn MR, et al.: Lancet. 2008;371(9630):2120-2133. より一部改変

### ▶ 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

<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  
☎ 0120-515-275  
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  
SMA 病院検索 検索  
supported by Biogen

### ▶ 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。



## 3 スピラザの安全性について

### ▶ 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）に関連した症状があらわれることがあります。スピラザの投与後、一定期間は注意して観察を行います。症状があらわれた場合には、医療機関にご相談ください。



© Daichi Sugimoto

3 DCG 作品：Amabie

SNS で話題になっていた、疫病を鎮める妖怪アマビエ様を、僕なりのタッチでキャラクター化してみました。パンデミックが終息して、みんなにとって幸せな日常が少しでも早く訪れるよう、願っています。

3 D アーティスト：杉本大地  
<https://daichiandbon.com>

杉本大地さんについて

1998 年生まれ。高校生のときに趣味として 3DCG をはじめる。その後独学を続け、大学在学中にフリーランス 3D アーティストとして活動を開始。SMA のため、普段は電動車いすを使って生活している。SNS を通じた依頼を中心に、クライアントは国内外問わず活動中。  
(この冊子のストーリーと、杉本大地さんは関係ありません。)

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

2021年月作成  
Biogen-79411  
SPI129AR01