製品特性概要

以下はゾルゲンスマの製品特性の概要です。
詳細及び最新の情報につきましては、こちらをご参照ください。

- ゾルゲンスマは、脊髄性筋萎縮症（**SMA**）の根本原因である**SMN1**遺伝子の機能欠損を補う、遺伝子治療用ベクター製品である

- ゾルゲンスマは、**2**歳未満の**SMA**患者に対し単回の静脈内投与を行う
（※詳細は添付文書をご参照ください。）

- ゾルゲンスマは、**I**型**SMA**患者の永続的な呼吸補助を必要としない生存率を改善した
（※詳細は**I**型**SMA**患者を対象とした海外第**I**相試験（**CL-101**試験：**START**）（海外データ）をご参照ください。）

- ゾルゲンスマは、**I**型**SMA**患者の運動マイルストーンの達成を可能にした
（※詳細は**I**型**SMA**患者を対象とした海外第**I**相試験（**CL-101**試験：**START**）（海外データ）をご参照ください。）

- ゾルゲンスマは、**I**型**SMA**患者の運動機能（**CHOP-INTEND**スコア）を改善した
（※詳細は**I**型**SMA**患者を対象とした海外第**I**相試験（**CL-101**試験：**START**）（海外データ）をご参照ください。）

- **SMA** 患者を対象とした臨床試験において、本品が投与された**82**例（日本人**2**例を含む）中**35**例（**42.7**%）に副作用が認められた。主な副作用は、**AST**増加**9**例（**11.0**%）、**ALT**増加、トランスアミナーゼ上昇及び嘔吐が各**6**例（**7.3**%）であった（**2019**年**3**月**8**日 カットオフ）
重大な副作用として肝機能障害（**19. 5**%）、肝不全（頻度不明）、血小板減少症（**6. 1**%）が現れることがある

  ※：本試験の用法及び用量は、コホート1（n=3）では本品3.7×1013vg/kg、コホート2（n=12）では1.1×1014vg/kgの単回静脈内投与であった。

安全性の詳細は、添付文書の「不具合・副作用」及び臨床成績の「安全性の結果」をご参照ください

適正使用ガイド
SMA診療相談可能施設 脊髄性筋萎縮症（SMA）の診療について相談可能な施設が検索可能です

Source URL: *https://www.pro.novartis.com/jp-ja/products/zolgensma/product*