

ムコ多糖症Ⅱ型治療剤

ヒュンターゼ<sup>®</sup>による治療を

考えている患者さんへ

監修：国立成育医療研究センター 奥山 虎之  
大阪市立大学医学部小児科 濱崎 考史  
国立成育医療研究センター 小須賀 基通

**CLINIGEN**

## はじめに

ヒュンタラーゼは、ムコ多糖症Ⅱ型の脳神経に関わる症状の進行抑制や改善が期待されている世界で初めての薬剤です。頭のてっぺんの皮ふの下に「リザーバ」と呼ばれるバッグを入れて、そこにお薬を注入することで直接脳に行き渡らせます。

この患者さん向けガイドは、ヒュンタラーゼ脳室内注射液15mgを正しく理解していただくために、投与に際して注意していただきたい事項について解説しています。

### 目次

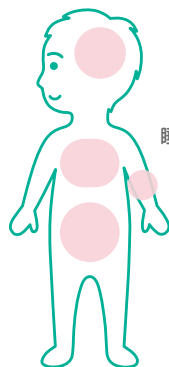
ムコ多糖症Ⅱ型の症状とその治療	P. 3
治療の流れ	P. 4
投与方法	P. 5
治療に対する注意点	P. 5
参考：臨床試験(6例中)で発現した副作用	P. 5
患者さんの治療スケジュール	P. 6

# ムコ多糖症Ⅱ型の症状とその治療

## ムコ多糖症Ⅱ型のさまざまな症状

ムコ多糖症は、生まれつき体の中でムコ多糖という体内物質を分解する酵素の働きが弱かったり、その酵素が無いために、ムコ多糖を分解することができず、全身の臓器の細胞に溜まってしまふことで起こる病気です。

ムコ多糖症Ⅱ型はその一つで、デルマトン硫酸、ヘパラン硫酸が体内に溜まってしまふことによって、さまざまな症状が現れます。



脳・神経  
発達の遅れ、言葉の遅れなど

呼吸器・耳  
睡眠時無呼吸、繰り返す中耳炎など

心臓  
弁膜症など

肝臓・脾臓  
肥大

骨・関節  
骨の変形、関節のこわばり

## ムコ多糖症Ⅱ型の治療 酵素補充療法

体の中の不足している酵素を体外から補充することで、体の中に溜まったムコ多糖を分解し、症状の改善や病気の進行を抑えることが期待されます。

### 点滴による酵素補充療法

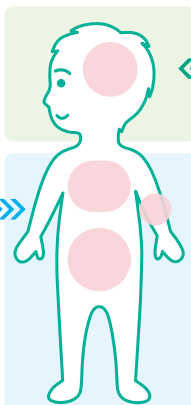


症状改善

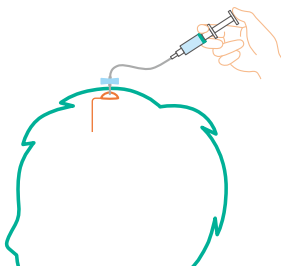
お薬(酵素)を点滴で注射することにより、呼吸器の障害や肝臓・脾臓の肥大などの症状の改善がみられます。

週1回の点滴での注射はこれまで通り行う。

### 脳室内注射による酵素補充療法



症状改善



お薬(酵素)を脳内に直接注射することにより、お薬が脳内の神経細胞に行き渡ることから、脳の神経に関わる症状の改善が期待されます。

4週に1回、ヒュンターゼをリザーバを介して脳内に注射する。

## 治療の流れ

治療計画について相談



事前の検査(症状の程度をみる調査票、血液検査など)



リザーバの設置(入院、全身麻酔)

- 手術時間は30分程度です
- 脳神経外科では頻繁に行われている手術です
- 経験のある医師が手術を行います



ヒュンタラーゼ初回投与



4週に1回

定期投与、フォローアップ

## 投与方法

**本剤の投与:2分程度です。**

(1) 予めお薬と同じ容量の脳脊髄液(2mL)を採取します。

(2) お薬2mLを1分以上かけて投与します。

## 治療に対する注意点

- リザーバ植込みに関連する副作用として、脳室炎(のうしつえん)、髄膜炎(ずいまくえん)などの感染症が起こる可能性があります。また、頭の中の圧が低下または上昇することによって、頭痛、吐き気、嘔吐のような症状が出る可能性があります。これらの症状がみられた場合には、速やかに担当医にご連絡ください。
- お薬の投与によって、アレルギーやショック症状が起こる可能性があります。これらの症状が起こると、頬が赤くなったり、かゆみや蕁麻疹、悪心(気持ちの悪さ)が出ます。より強い場合は、窒息感または呼吸困難、動悸、めまいのような症状が出る可能性があります。担当医は、この様な症状がみられた場合に対応できるよう準備しています。

## 参考:臨床試験(6例中)で発現した副作用

副作用発現例数: 6例

嘔吐: 6例	蕁麻疹	: 1例
発熱: 3例	血中ビリルビン増加	: 1例
悪心: 2例	落ち着きのなさ	: 1例

# 患者さんの治療スケジュール

## 治療計画の話し合い

月 日 時間 : ~

- ・手術計画(脳神経外科医との相談)
- ・通院計画、同意説明の取り交わし

## 事前検査・リザーバ設置

月 日 時間 : ~

- ・事前検査

月 日 時間 : ~

- ・入院 ⇒ 手術(リザーバの設置)

## ヒュンタラーゼ初回投与

月 日 時間 : ~

## ヒュンタラーゼ2回目投与

4週に1回

月 日 時間 : ~

✕

**CLINIGEN**

クリニジェン株式会社