



## NIHS 医薬品安全性情報 Vol.24 No.01(2026/01/20)

### 目 次

#### 各国規制機関情報

##### 【米FDA(U.S. Food and Drug Administration)】

- Delandistrogene moxeparvovec-rokl[‘Elevidys’]:FDAは治療後の重篤な急性肝障害および急性肝不全に関する新たな枠組み警告の追加と、歩行可能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者に使用を限定する適応改訂の措置を実施 .....2

#### 過去のNIHS医薬品安全性情報

<https://www.nihs.go.jp/dig/sireport/index.html>

#### 新型コロナウイルス感染症治療薬・ワクチン等の臨床試験/研究に関する文献情報

<https://www.nihs.go.jp/dig/covid19/index.html>

「NIHS 医薬品安全性情報」は、医薬安全科学部が海外の主な規制機関・国際機関、医学文献等からの医薬品に関わる安全性情報を収集・検討し、重要と考えられる情報を翻訳または要約したものです。

[‘〇〇〇’]の〇〇〇は当該国における販売名を示し、医学用語は原則としてMedDRA-Jを使用しています。  
略語・用語の解説、その他の記載については<https://www.nihs.go.jp/dig/sireport/weekly/tebiki.html>をご参照ください。

※本情報を参考にされる場合は必ず原文をご参照ください。本情報および本情報にリンクされているサイトを利用した結果についての責任は負いかねますので、ご了承ください。

## 各国規制機関情報

Vol.24(2026) No.01(01/20) R01

### 【米FDA】

• **Delandistrogene moxeparvovec-rokl[‘Elevidys’]**: FDAは治療後の重篤な急性肝障害および急性肝不全に関する新たな枠組み警告の追加と、歩行可能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者に使用を限定する適応改訂の措置を実施

**FDA Takes Action on New Boxed Warning for Acute Serious Liver Injury and Acute Liver Failure Following Treatment with Elevidys and Revised Indication that is Limited to Ambulatory Duchenne Muscular Dystrophy Patients**

#### FDA Safety Communication

通知日: 2025/11/14

[https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/safety-availability-biologics/fda-takes-action-new-bo  
xed-warning-acute-serious-liver-injury-and-acute-liver-failure-following](https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/safety-availability-biologics/fda-takes-action-new-boxed-warning-acute-serious-liver-injury-and-acute-liver-failure-following)

### ◇概要

米国食品医薬品局(FDA)は2025年6月に、歩行不能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)<sup>A</sup>男児患者においてdelandistrogene moxeparvovec-rokl[‘Elevidys’]による治療後に致死的な急性肝不全が発現した報告2件に関する情報を提供するため、「歩行不能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者における[‘Elevidys’]使用後の急性肝不全による死亡例についてFDAは調査中」と題したFDA Safety Communication<sup>B</sup>を発出した。またFDAは、歩行不能なDMD患者での肝毒性関連死を、FDA有害事象報告システム(FAERS)<sup>C</sup>により[‘Elevidys’]に関して特定した重篤なリスクの潜在的シグナル/新たな安全性情報として2025年1～3月の四半期報告<sup>D</sup>に掲載した。2025年6月以降、製造業者は自主的に、歩行不能なDMD患者での治療用としては、米国内での[‘Elevidys’]の流通を一時停止している。

[‘Elevidys’]はDMDの治療を適応とする、アデノ随伴ウイルスrh74型(AAVrh74)ベクターを用いた遺伝子治療用製品である。臨床試験および市販後データから、急性肝不全の致死例が報告されている。それらの患者は、[‘Elevidys’]による治療開始後2カ月未満でトランスアミナーゼ上昇を呈し、入院した。歩行不能なDMD患者において、[‘Elevidys’]の使用に伴って非致死性の重篤な急性肝障害が発現した後に、生命を脅かす腸間膜静脈血栓症に腸管虚血と腸壊死を合併し、さらに門脈圧亢進症を生じた症例も報告されている。

FDAは安全性データのレビューを完了し、安全性に関する製品表示改訂を通知するレターを発

<sup>A</sup> Duchenne Muscular Dystrophy

<sup>B</sup> [https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/safety-availability-biologics/fda-investigating-deaths-due-acute-live  
r-failure-non-ambulatory-duchenne-muscular-dystrophy-patients](https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/safety-availability-biologics/fda-investigating-deaths-due-acute-live<br/>r-failure-non-ambulatory-duchenne-muscular-dystrophy-patients)

<sup>C</sup> FDA Adverse Event Reporting System

<sup>D</sup> [https://www.fda.gov/drugs/fdas-adverse-event-reporting-system-faers/january-march-2025-potential-signals-seriou  
s-risksnew-safety-information-identified-fda-adverse](https://www.fda.gov/drugs/fdas-adverse-event-reporting-system-faers/january-march-2025-potential-signals-seriou<br/>s-risksnew-safety-information-identified-fda-adverse)

行後、致死的転帰を含む重篤な肝障害および急性肝不全のリスクに関する新たな安全性情報を盛り込むため、安全性に関する製品表示を以下のように改訂することを承認した。すなわち、処方情報への「枠組み警告」<sup>E</sup>の追加、「使用上の制限」<sup>F</sup>の追加を含む「効能・効果」<sup>G</sup>の改訂、ならびに「警告および使用上の注意」<sup>H</sup>、「用法および用量」<sup>I</sup>、「副作用 — 市販後の使用経験」<sup>J</sup>、「特定の患者集団への投与」<sup>K</sup>、「臨床試験」<sup>L</sup>、「患者カウンセリング情報」<sup>M</sup>の各セクションの改訂、および患者向け「医薬品ガイド」<sup>N</sup>の追加である。

注目すべき点として、改訂後の「効能・効果」では、4歳以上でDMD遺伝子の病的バリアント<sup>O</sup>が同定されている歩行可能なDMD患者に適応が限定されている。改訂後の製品表示の「効能・効果」セクションでは、歩行不能な患者集団は適応の対象には含まれず、また、歩行不能な患者集団での使用はすでにBLA<sup>P</sup>にもとづく承認の対象外となっている。したがって、[‘Elevidys’]の使用が承認されているのは4歳以上の歩行可能なDMD患者のみである。治療の適切性とタイミングを慎重に検討すべきことを強調するため、今回、「使用上の制限」の項目が追加されている。FDAが「枠組み警告」の追加が必要であると結論した理由は、重篤な肝障害と急性肝不全のリスクを強調し、急性肝障害が重篤あるいは急性肝不全への進展が切迫していると疑われる場合には専門医から迅速な助言を得るよう医療従事者に注意喚起し、[‘Elevidys’]の点滴静注後少なくとも2カ月間は、医療従事者の判断にもとづき、適切な医療機関の近隣に留まるよう患者に指示するためである。

#### ◇市販後の研究および安全性モニタリング

FDAは、重篤な肝障害および急性肝不全のリスクに関する新たな安全性情報にもとづき、この重篤なリスクを評価するため、連邦食品・医薬品・化粧品法(FDCA)<sup>Q</sup>セクション505(o)による市販後義務事項(PMR)<sup>R</sup>が必要であると決定した。FDAは製造業者に対し、DMD患者200人を対象とした前向きの市販後観察研究を実施するよう求めた。組み入れられた患者は医薬品の投与後少なくとも12カ月間追跡される。この研究のデザインには適切な検査方法による肝毒性のモニタリング(実施間隔を予め規定)が含まれる。

FDAは、[‘Elevidys’]を含め、すべての生物学的製剤の安全性に関する継続的なモニタリングと評価を優先事項としており、今後も引き続き、これらの医薬品について新たな情報を得られれば

<sup>E</sup> Boxed Warning

<sup>F</sup> Limitations of Use

<sup>G</sup> Indications and Usage

<sup>H</sup> Warnings and Precautions

<sup>I</sup> Dosage and Administration

<sup>J</sup> Adverse Reactions – Postmarketing Experience

<sup>K</sup> Use in Specific Populations

<sup>L</sup> Clinical Studies

<sup>M</sup> Patient Counseling Information

<sup>N</sup> Medication Guide

<sup>O</sup> mutation

<sup>P</sup> Biologic License Application(生物製剤承認申請)

<sup>Q</sup> Federal Food, Drug, and Cosmetic Act

<sup>R</sup> postmarketing requirement

公表するように努める。

### 関連情報

・FDAの規制措置の詳細は下記サイトを参照。

[FDA Approves New Safety Warning and Revised Indication that Limits Use for Elevidys Following Reports of Fatal Liver Injury.](https://www.fda.gov/drugs/nda/approval/2025/elevidys-new-safety-warning-revised-indication-limits-use-elevide)

---

### 参考情報

※EUではEMAが2025年7月24日付で、「Elevidys」の販売承認申請を拒否するよう勧告した。

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/elevidys>

### 薬剤情報

◎Delandistrogene moxeparvovec[デランジストロゲン モキセパルボベク, 再生医療等製品, デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬]国内:発売済 海外:発売済

※遺伝子組換え生物等の第一種使用規定承認取得製品

※国内では「デュシェンヌ型筋ジストロフィー」に対する希少疾病用再生医療等製品に指定されている(2024/07/30)。

※国内での適応は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー

ただし、以下のいずれも満たす場合に限る

・抗AAVrh74 抗体が陰性の患者

・歩行可能な患者

・3歳以上 8歳未満の患者

以上

---

### 連絡先

医薬安全科学部第一室：青木 良子