

## 新薬紹介：サルグマリン吸入用 250 $\mu$ g

本年3月に自己免疫性肺胞蛋白症(aPAP)の治療薬、サルグマリン吸入用が承認され、7/29に発売になります。aPAPは患者数の少ない指定難病で、これまでは対症療法と全肺洗浄が主な治療でしたが、初めての原因治療が行える薬剤ということで期待されています。

循環器・呼吸器病センターでも数人のaPAP患者を診ており、ときおり全肺洗浄に入院する患者を見てきました。新薬が登場し、それがネブライザー型の吸入薬ということで、薬剤師の関与も必要だと思って準備を進めています。

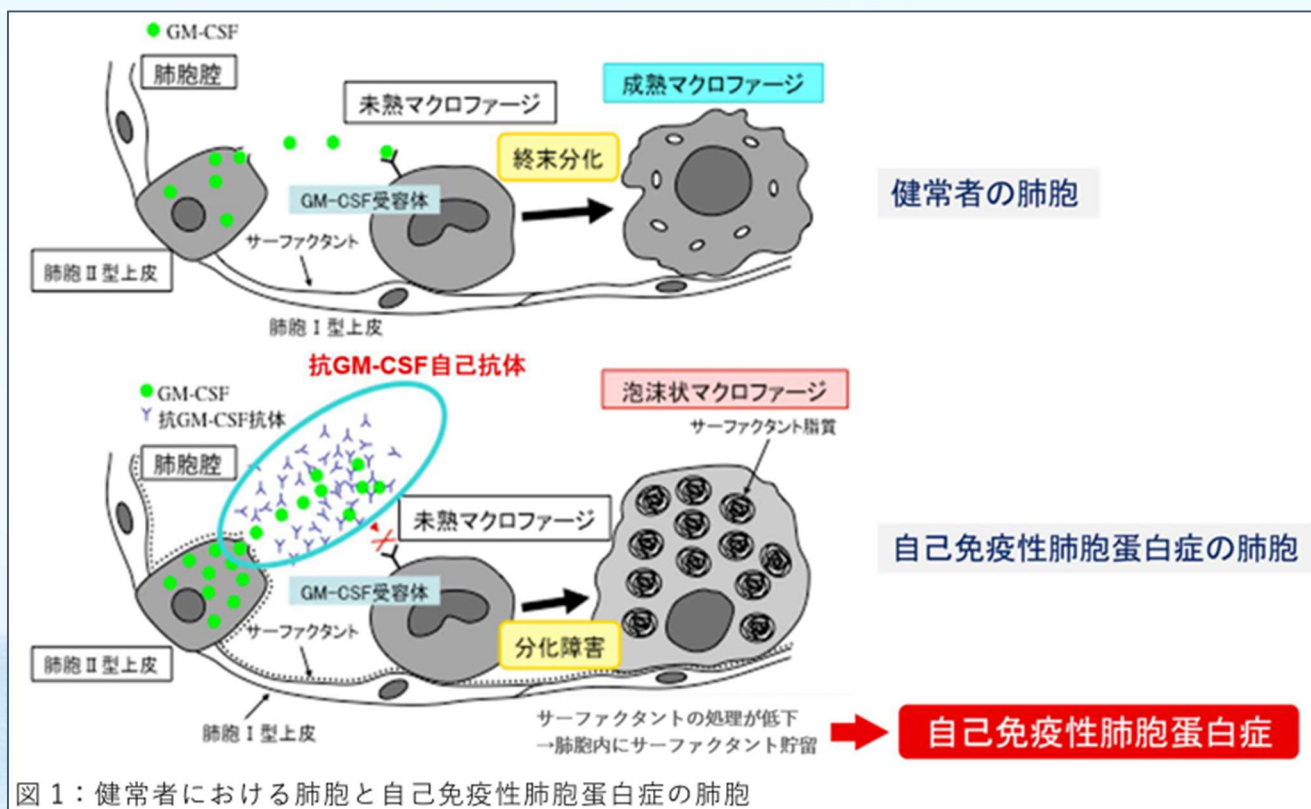
注：本文の使用感や使われる患者のイメージは杉田が説明で受けた印象からの私見です。実際に投薬する際には添付文書等の確認をお願いします。

### 自己免疫性肺胞蛋白症(Autoimmune Pulmonary Alveolar Proteinosis:aPAP)とは

正常な肺では肺胞が潰れないように「サーファクタント」という界面活性物質が分泌されています。サーファクタントはまた、呼吸によって肺に入ってくる微粒子を取り込み、肺から除去することにも関わります。

役割を果たしたサーファクタントは「肺胞マクロファージ」が貪食し除去されます。これにより肺の機能が維持されます。

この肺泡マクロファージが成熟するためには、肺泡にある「II型上皮細胞」から分泌される「GM-CSF(granulocyte macrophage colony stimulating factor (顆粒球マクロファージコロニー刺激因子))」が幼弱な肺泡マクロファージに結合することが必要ですが、aPAP患者の肺にはこのGM-CSFに結合して中和する「抗GM-CSF自己抗体」が存在します。抗GM-CSF自己抗体がなぜ産生されるようになるのかは不明(粉塵暴露などが可能性としてあげられています)ですが、結果としてこの抗GM-CSF自己抗体がGM-CSFを中和してしまい、肺泡マクロファージが成熟できなくなり、内部に分解できないサーファクタントを抱え込んだままの泡沫状マクロファージに変質します。これによってサーファクタントの分泌と除去のバランスが崩れ、サーファクタントが蓄積した状態が自己免疫性肺胞蛋白症です。



2024.3.26 新潟大学プレスリリースより引用

## サルグマリン吸入用の作用機序

サルグマリン吸入用は遺伝子組み換えによって生産された GM-CSF 製剤であり、吸入によって十分量が投与され、肺に到達することで抗 GM-CSF 自己抗体の一部がトラッピングされながらも残りが未成熟マクロファージに到達することで、マクロファージが成熟し、正しくサーファクタントを除去する機能を獲得することで、肺胞蛋白症による肺機能障害を改善する薬剤です。

aPAP は肺以外の臓器病変はほとんどみられないため、サルグマリンは肺の局所作用を狙って吸入薬になっています。

## サルグマリン吸入用 250 $\mu$ g概要

- ・一般名：サルグラモスチム(遺伝子組み換え)
- ・名前の由来：本剤に関連する用語である **S**argramostim、**GM**-CSF、**a**lveoli (肺胞)、**i**nhale (吸入する) の先頭の文字を組み合わせて、Sargmalin とした。
- ・適応：自己免疫性肺胞蛋白症
- ・剤形：バイアル(凍結乾燥製剤) 計量カップ、スポイト、保護シール付
- ・保管条件：遮光及び凍結を避け 2～8°Cで

### 保存

- ・薬価：42359.1 円/瓶
- ・通常用法：125  $\mu$ g(0.5 瓶)を 1 日 2 回ネブライザーを用いて吸入。7 日間吸入し 7 日間休



薬する。この2週間を1クールとして繰り返す。12クールを目安に効果判定を行う。

・主な副作用：咳嗽、発声障害、口の感覚鈍麻、頭痛、尿中血陽性、赤血球・白血球増加症

(いずれもその他の副作用、2%未満)

・製造販売：ノーベルファーマ（株）

## FAQ

Q. サルグマリンの費用は？

A. 42359.1円/Vです。1日1Vで7日間吸入し7日間休薬の2週間を1クールとしますので、1月あたり14V、**約60万円**かかります。ただし、サルグマリンが適応になる患者では指定難病による公費助成が受けられるので、**自己負担は多くても3万円/月程度**になると思われます。

Q. ネブライザー購入にかかる保険点数はつくのか

A. ありません。ただし市町村による日常生活用具給付制度の対象になりますので、手続きを取れば購入費の9割程度は還付されます。

Q. ネブライザーの機種に指定はあるか

A. 超音波式(熱による薬剤変性の恐れ)以外のネブライザーであればなんでも良いとされていますが、吸入時の使い勝手の面で大きめのリザーバーついているものがよいそうです。

(杉田注：とはいえ、本当に自由にしてしまうと指導する側が大変なので、原則としては治療で使われたネブライザの後継機種、バリ社ボーイ Pro を買っていただくよう指導する予定です)



## 感想・印象・まとめ

我々にとっては新薬ですが、開発した新潟大学や患者団体にとっては、約 20 年の歳月をかけてやっと上市された待ちに待った薬です。自己免疫性肺胞蛋白症は適切な治療によって増悪を防いでいると自然に自己抗体が消失・軽快する可能性のある疾患とのことで、発症して数年の治療が重要で、そこに原因治療となる薬剤が出たのですから、必要な人には適切に届けないといけない薬だと思います。一方でネブライザーによる吸入ということで、例によって適切な吸入指導が必要。また高額・希少薬ということで適切な供給管理も重要なので、患者に出会う可能性は小さいですが出会ったときには薬剤師が関わる必要のある薬剤です。

当院からご紹介させていただく可能性もありますので、頭の片隅に覚えておいていただけると幸いです。

(文責：埼玉県立循環器・呼吸器病センター 薬剤部 杉田英章)



参考資料

サルグマリン吸入用 250  $\mu$ g製品サイト(ノーベルファーマ)

<https://sargmalin.nobelpark.jp>

日本肺胞蛋白症患者会

<https://pap-net.jp>

新潟大学プレスリリース

「指定難病「肺胞蛋白症」に対する世界初の薬物療法の実用化に成功」

<https://www.niigata-u.ac.jp/wp-content/uploads/2024/03/240326rs.pdf>

日常生活用具給付等事業(熊谷市)

※ 厚労省所管で市町村が実施するので、どの市町村でも同様です

<https://www.city.kumagaya.lg.jp/kenkouhukushi/syougaisya/hosougu/nichigu.html>

PARI ボーイ Pro(村中医療器 HP)

[https://www.muranaka.co.jp/online/products/detail.php?product\\_id=107074](https://www.muranaka.co.jp/online/products/detail.php?product_id=107074)

