

## Efzofitimid for the Treatment of Pulmonary Sarcoidosis

### 概要

#### Background

肺サルコイドーシスは、肉芽腫を形成する免疫細胞の集簇を特徴とし肺を傷害する。新規免疫調節薬である efzofitimid(ATYR1923)は、肺の炎症に反応して免疫細胞で発現が増加するニューロピリン2に選択的に結合する。

#### Research Question

肺サルコイドーシスにおける efzofitimid の忍容性、安全性、および転帰に対する効果

#### Study design and methods:

無作為化二重盲検プラセボ対照試験で、efzofitimid を4週間ごとに24週間静脈内投与し反復投与用量漸増を評価する。無作為化した患者(2:1)には、8週までに5mg/日まで、16週以降は5mg/d未滿までステロイドの漸減を実施した。主要評価項目は有害事象(AE)の発生率で、副次的評価項目はステロイドの減量、肺機能の変化、健康関連QOL尺度による患者報告アウトカムであった。

#### Results

37名の患者が、少なくとも1回の試験薬の投与を受けた。efzofitimid はすべての用量で良好な忍容性を示し、新規または予期せぬAEはなく、用量依存的なAE発生はなかった。試験終了時までの1日平均ステロイド投与量は、プラセボの7.2mgに対し、1mg/kg群、3mg/kg群、5mg/kg群でそれぞれ6.8mg、6.5mg、5.6mgであり、ベースライン調整後のステロイド相対減少量はそれぞれ5%、9%、22%となった。臨床的に意義のある改善は、いくつかの患者報告アウトカムで達成され、そのうちのいくつかは5mg/kg投与群で統計的有意差に達した。また、3mg/kgと5mg/kgでは、有意ではないが用量依存的な肺機能の改善傾向が認められた。

#### Interpretation

efzofitimid は安全で忍容性が高く、プラセボと比較していくつかの臨床的関連エンドポイントの用量依存的な改善と関連していた。本試験の結果は、肺サルコイドーシスにおけるefzofitimidのさらなる評価を支持するものである。