

# エレビジス®

による治療を受けられる方、  
およびご家族の方へ

監修 | 東京女子医科大学 小児科 准教授  
石垣 景子 先生



## はじめに

デュシェンヌ型筋ジストロフィー (Duchenne Muscular Dystrophy: DMD) は、ジストロフィン遺伝子が増えているためにジストロフィンというタンパク質をつくれず、筋肉が壊れて全身の筋力が低下していく病気です。

エレビジスには、ジストロフィンと同じようなはたらきをするタンパク質をつくる遺伝子が組み込まれています。このような遺伝子を体の中に入れる治療のことを、「遺伝子補充療法」といいます。

本冊子では、DMDやエレビジスについて分かりやすく解説しています。患者さんやご家族の方が、病気や治療について正しく理解するための一助となれば幸いです。

エレビジスでの治療を行う上で不安なことや分からないことなどがありましたら、主治医や看護師などの医療関係者にご相談ください。

# 目次

|                             |    |
|-----------------------------|----|
| はじめに                        | 2  |
| DMDについて                     | 4  |
| DMDとは                       | 4  |
| DMDの症状                      | 5  |
| DMDの原因と遺伝                   | 6  |
| DMDの検査・診断                   | 7  |
| エレビジスについて                   | 8  |
| エレビジスとは                     | 8  |
| エレビジスの治療を受けることができる方／注意が必要な方 | 9  |
| エレビジスの治療の流れ                 | 10 |
| エレビジスの治療にあたり必要な検査           | 11 |
| コルチコステロイド(プレドニゾロンなど)の服用について | 12 |
| エレビジスのリスクや注意事項について          | 14 |
| 特に注意すべき副作用                  | 14 |
| その他の副作用                     | 15 |
| その他のリスクや注意事項                | 15 |
| エレビジスの投与に向けた準備              | 16 |
| 日程の調整                       | 16 |
| 予防接種                        | 16 |
| コルチコステロイドの服用                | 16 |
| 感染症予防など体調管理                 | 16 |
| エレビジスの投与後の注意事項              | 17 |
| 患者さんご家族が注意すべき症状             | 17 |
| 感染症予防など体調管理について             | 18 |
| 体液や排せつ物の取扱い                 | 19 |
| ご家族との接触                     | 20 |
| 治療後の検査・DMDにおける支持療法について      | 20 |
| 継続的な受診                      | 21 |
| ご家族の方へ                      | 22 |
| 日常生活での注意事項                  | 23 |
| エレビジスの治療日程表                 | 24 |
| 医療機関名・連絡先                   | 39 |

# DMDについて

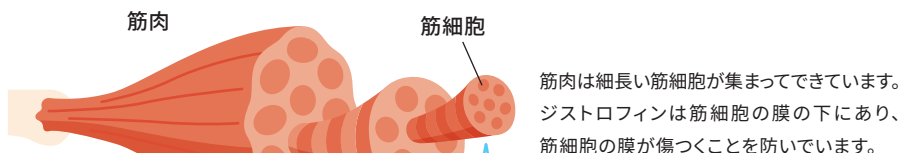
## DMDとは

筋ジストロフィーは、筋肉が壊れやすく、再生されにくくなる遺伝性の筋肉の病気の総称であり、指定難病に定められています。

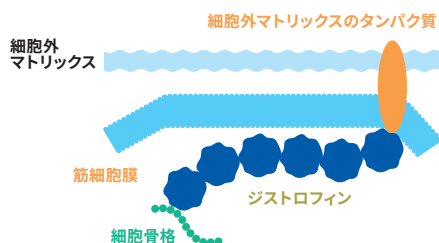
DMDは筋ジストロフィーの代表的な病気で、出生男児の3,000人に1人の割合で発症するといわれています<sup>1)</sup>。

DMD患者さんは、ジストロフィン遺伝子が増えているためにジストロフィンをつくることができません。ジストロフィンとはさまざまな筋組織の筋細胞膜の下にあるタンパク質で、体を動かすために筋肉が伸びたり縮んだりするときに筋細胞膜が傷つくことを防いでいると考えられています。そのため、ジストロフィンをつくれなDMD患者さんでは筋肉を伸び縮みさせると筋細胞膜が傷つきやすく、やがて筋肉が壊れて全身の筋力が低下していきます。

<イメージ図>

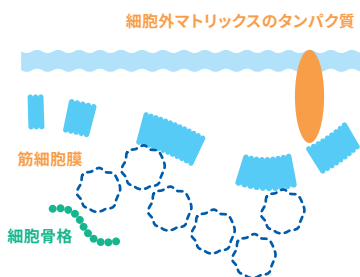


### ジストロフィン遺伝子に異常がない場合



ジストロフィンがあるため筋細胞膜が安定

### DMD患者さんの場合



ジストロフィンがないため筋細胞膜が不安定

↓  
筋肉が伸び縮みすると筋細胞膜が傷つきやすい

1) 小児慢性特定疾病情報センター. 47 デュシェンヌ (Duchenne) 型筋ジストロフィー.  
[https://www.shouman.jp/disease/details/11\\_21\\_047/](https://www.shouman.jp/disease/details/11_21_047/), (2026年1月7日閲覧)

## DMDの症状

幼児期ごろに走れない、転びやすいなどの症状からみられ始めます。血液検査で高クレアチンナーゼ※(CK)血症が見つかり発症前に診断される場合もあります。進行すると呼吸や心臓の機能の低下がみられるようになりますが、症状の種類や程度、進行度は患者さんの状態・治療の状況により異なります。

※：筋肉が壊れたときに数値が上がる酵素

### 発達期



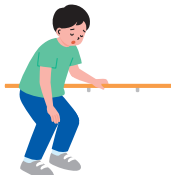
- 運動発達が遅れる
- 走れない、転びやすい

### 歩行可能前期



- ふくらはぎが太くなる
- つま先歩きをする
- 手でひざや太ももを伝って立ち上がる(ガワーズ徴候)
- 腰を振って歩く(動揺性歩行)

### 歩行可能後期



- 歩くことが難しくなってくる
- 車いすが必要な場面がある

### 歩行不能前期



- 常に車いすを使用する必要がある
- 腕を上げることが難しくなる
- 呼吸や心臓の機能低下がみられる

### 歩行不能後期



- 腕の機能が低下し、姿勢の維持が難しくなってくる
- 呼吸や心臓の機能低下に伴う、頭痛・息切れ・疲れやすさがみられやすくなる

あらわれる症状の種類や程度、進行度は患者さんの状態・治療の状況により異なります

高CK血症が見つかり  
発症前に診断される場合もある

## DMDについて

### DMDの原因と遺伝

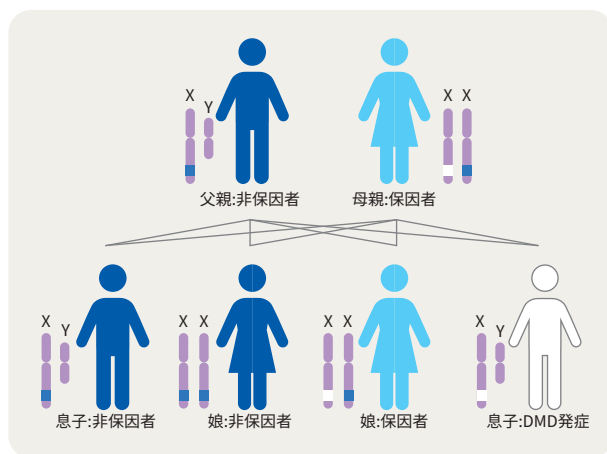
遺伝子はタンパク質をつくるための設計図です。ジストロフィン遺伝子はヒトが持つ遺伝子の中でとても大きな遺伝子で、タンパク質をつくるために重要なエクソンと呼ばれる部位が1～79番目まであります。DMDは遺伝子に異常があるために起こる遺伝性疾患のひとつで、DMD患者さんではジストロフィン遺伝子のエクソンの一部を持っていない、または一部が変化しています。

ジストロフィン遺伝子は、性別を決定する性染色体であるX染色体上にあります。男性はX染色体とY染色体を1本ずつ、女性はX染色体を2本持っています。DMDは、ジストロフィン遺伝子に異常がないX染色体を1本でも持っているが発症しないため、原則男児に発症します。

たとえば、ジストロフィン遺伝子に異常がないX染色体を持っている男性と、異常があるX染色体を1本持っている女性[保因者(ほいんしゃ)]が両親である場合、その子どものうち男児は50%の確率でDMDを発症します。また、女兒は50%の確率で保因者となります。なお、一部のDMD患者さんは両親のX染色体に異常がなく、突然変異によって発症します。

<イメージ図>

#### DMDの遺伝形式



- Y染色体
- 異常のないX染色体
- ジストロフィン遺伝子に異常があるX染色体

#### X連鎖潜性遺伝形式

ジストロフィン遺伝子に異常がないX染色体を1本でも持っているが発症しない遺伝形式

1) より作成

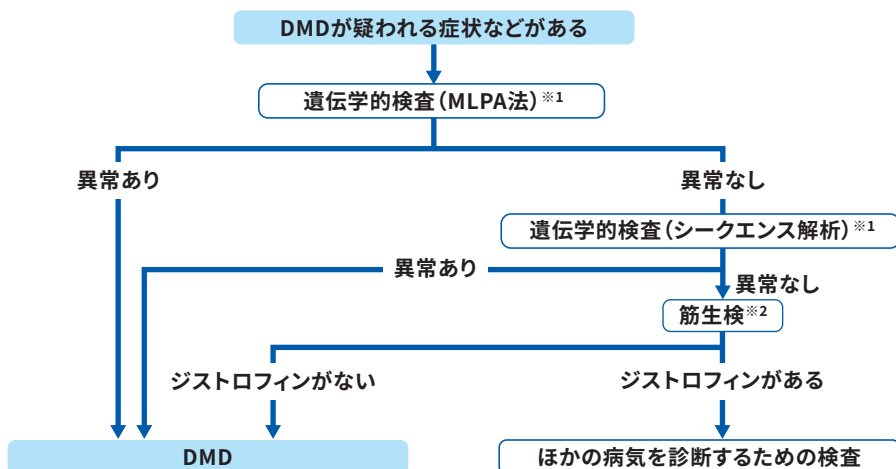
## DMDの検査・診断

DMDの診断は主に、原因となるジストロフィン遺伝子の異常を調べる遺伝学的検査により確定します。DMDでは遺伝子の異常の種類によって治療法が異なる場合がありますので、遺伝学的検査ではその情報も調べます。

遺伝学的検査を行う際には、患者さん本人だけでなくご家族も含めて適切な遺伝カウンセリングが必要です。検査前だけでなく、検査後でも分からないことや不安なことがあれば、主治医の先生に相談して遺伝カウンセリングを受けましょう。また、エピソードによる治療の実施に際しては、診断のための遺伝学的検査に関するカウンセリングとは別に、遺伝カウンセリングを受ける必要があります(22ページ)。

また、診断の際には、DMD患者さんの体の中で起こっていること、今後の治療や生活などについて、主治医より十分な説明が行われます。

### 代表的なDMDの診断の流れ



※1:最初にMLPA (Multiplex Ligation-dependent Probe Amplification) 法という検査を行い、MLPA法で異常が見つからない場合はさらに細かい遺伝子の異常を検索するシーケンス解析という検査を行います。

※2:筋肉の一部を採取して、ジストロフィンの有無やその量を調べる検査です。

1) より改変

1) 厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患政策研究事業「筋ジストロフィーの標準的医療普及のための調査研究」班。ジストロフィンパッチ診断手順。 <https://doctors.mdcast.jp/diagnosis/dystrophinopathy/> (2026年1月7日閲覧)

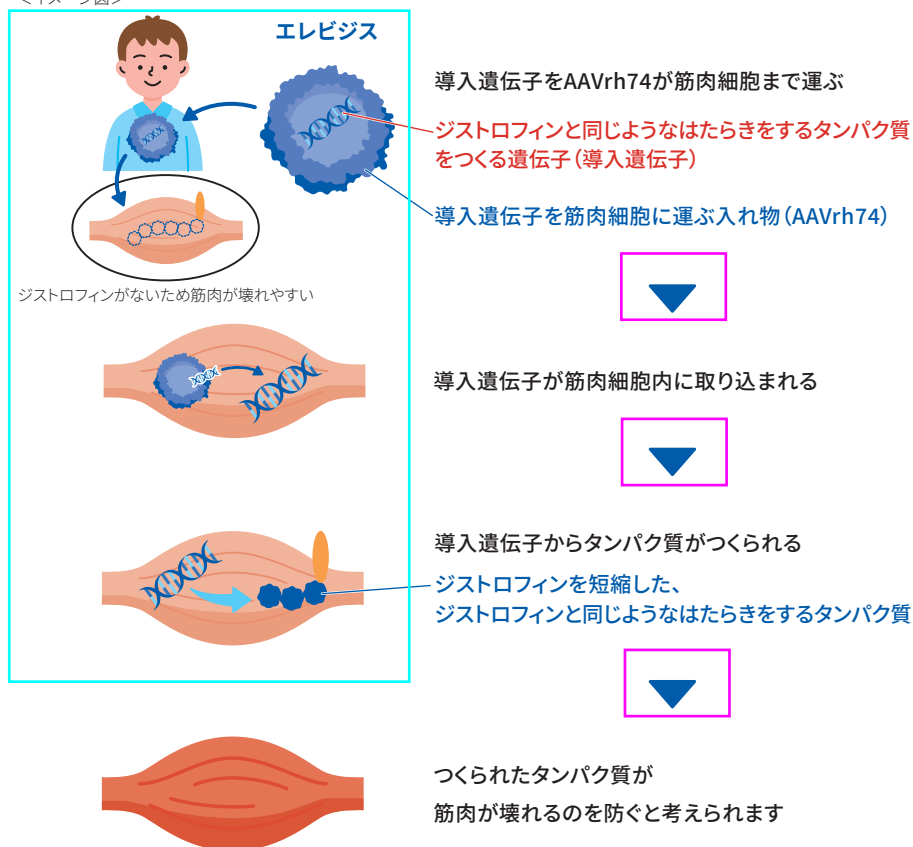
# エレビジスについて

## エレビジスとは

エレビジスは、ジストロフィンと同じようなはたらきをするタンパク質をつくる遺伝子（導入遺伝子）を、病原性のない治療用のアデノ随伴ウイルスであるAAVrh74という入れ物に組み込んだ製品であり、エレビジスの投与によって導入遺伝子が体内の筋肉細胞に運ばれます。この導入遺伝子から巨大なジストロフィン短縮したタンパク質がつくられ、ジストロフィンと同じようにはたらき、患者さんの筋肉が壊れるのを防ぐと考えられます。

この治療によって、導入遺伝子が患者さんご自身の遺伝子を収納している染色体に組み込まれる可能性は低いいため、患者さんの遺伝子には影響しないと考えられます。

<イメージ図>



## エレビジスの治療を受けることができる方／注意が必要な方

### ● 治療を受けることができる方

遺伝学的検査により、DMDの診断が確定している患者さんのうち、次の条件を満たす方がエレビジスによる治療を受けることができます。

- ☐ 抗AAVrh74抗体が陰性である
- ☐ 歩行可能である
- ☐ 3歳以上8歳未満
- ☐ エレビジスに含まれる成分に対して過敏症の既往がない
- ☐ ジストロフィン遺伝子の8番目または9番目のエクソンの欠失がない
- ☐ 過去にエレビジスによる治療を受けたことがない

### ● 注意が必要な方

次のような方はエレビジスによる治療に慎重な判断が必要です。1つでも該当する場合は、治療開始前に主治医にお知らせください。

- ☐ ジストロフィン遺伝子の1～17番目、59～71番目のいずれか1つ以上のエクソンが欠失している
  - ☐ 心機能障害を有する
  - ☐ 肝障害、慢性肝疾患または急性肝疾患（急性のウイルス性肝炎など）を有する
  - ☐ 感染症を合併している
  - ☐ エレビジス投与前に行うコルチコステロイドの服用を開始する前までに、対象となっている定期接種のワクチンをすべて完了していない
  - ☐ エレビジスの投与時期に応じた、季節性インフルエンザワクチンなどの接種が完了していない
- ☐ 女性（女性を対象とした臨床試験は行われていません）

# エレビジスについて

## エレビジスの治療の流れ

準備期間

### ① 治療についての説明

### ② 投与前の検査 (11ページ)



### ③ コルチコステロイドの服用開始 (12～13ページ)

### ④ エレビジス投与

エレビジスは、1～2時間ほどかけて静脈内に注入します。  
投与は1回で完了します。



### ⑤ 投与後の検査 (11ページ)

### ⑥ コルチコステロイドの減量開始 (12～13ページ)

### ⑦ 継続的な受診 (21ページ)



投与

観察期間

## エリブシスの治療にあたり必要な検査

エリブシスを投与する前後に次の検査を行います。また、感染症など、患者さんの体調を確認するためにその他の検査を行う場合もあります。

### 投与前

#### ● エクソン8および／またはエクソン9の欠失検査

ジストロフィン遺伝子の8番目または9番目のエクソンのどちらか、あるいは両方が欠失している方はエリブシスによる治療を受けることができません。

#### ● 抗AAVrh74抗体検査

抗AAVrh74抗体が陽性の方（抗体を持っている方）はエリブシスによる治療を受けることができません。

### 投与前および投与後

#### ● 肝機能の検査

エリブシスの投与後に肝臓の機能が低下することがあります（14ページ）。

血液検査や、腹部超音波検査などの画像検査を継続的に実施し、肝機能を評価することで投与の影響を確認します。また、必要に応じてケアも行います。

#### ● 血小板数の測定

エリブシスの投与後に血小板数が少なくなることがあります。

血小板数を測定することで投与の影響を確認し、必要に応じてケアを行います。

#### ● 心筋トロポニンIの測定

エリブシスの投与後に心臓の機能が低下することがあります（15ページ）。

心筋トロポニンIを測定することで投与の影響を確認し、必要に応じてケアを行います。

測定時に心電図検査をあわせて行う場合があります。

### 検査スケジュール

※下記のスケジュール以外でも医師の判断で検査が実施・継続されることがあります。

|          | 投与前 | 投与後 |    |    |    |            |     |     |     |     |     |    |
|----------|-----|-----|----|----|----|------------|-----|-----|-----|-----|-----|----|
|          |     | 1週  | 2週 | 3週 | 4週 | 以降、3カ月まで毎週 | 3カ月 | 4カ月 | 5カ月 | 6カ月 | 9カ月 | 1年 |
| 肝機能      | ●   | ●   | ●  | ●  | ●  | ●          | ●   | ○   | ○   | ●   | ○   | ●  |
| 血小板数     | ●   | ●   | ●  | ●  | ●  | ●          | ●   | ○   | ○   | ●   | ○   | ●  |
| 心筋トロポニンI | ●   | ●   | ●  | ●  | ●  | ○          | ○   |     |     | ●   |     | ●  |

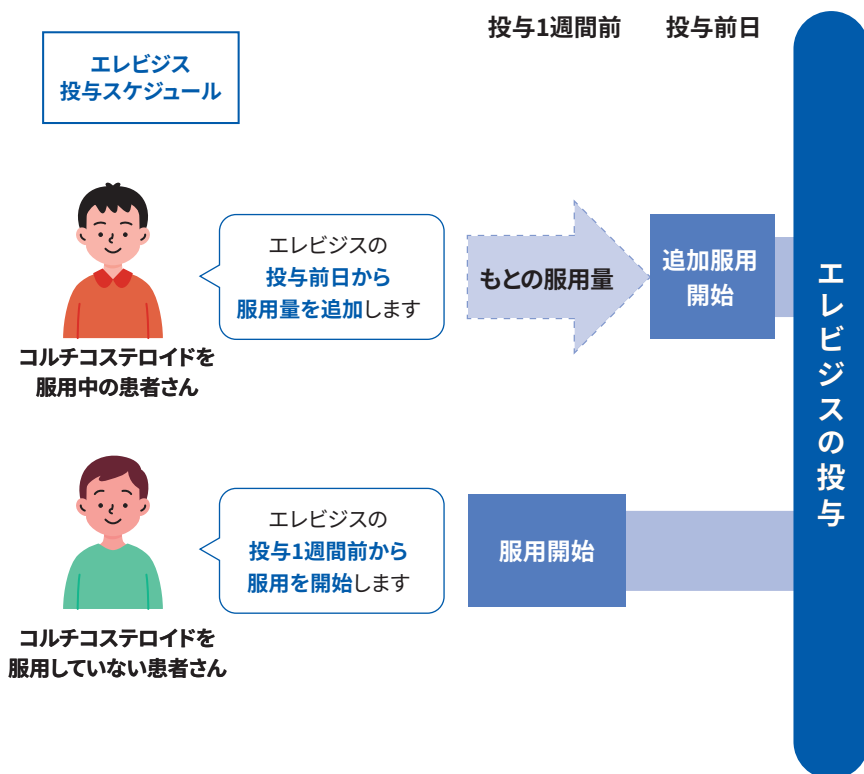
○：医師が必要と判断した場合に検査を実施します。

# エレビジスについて

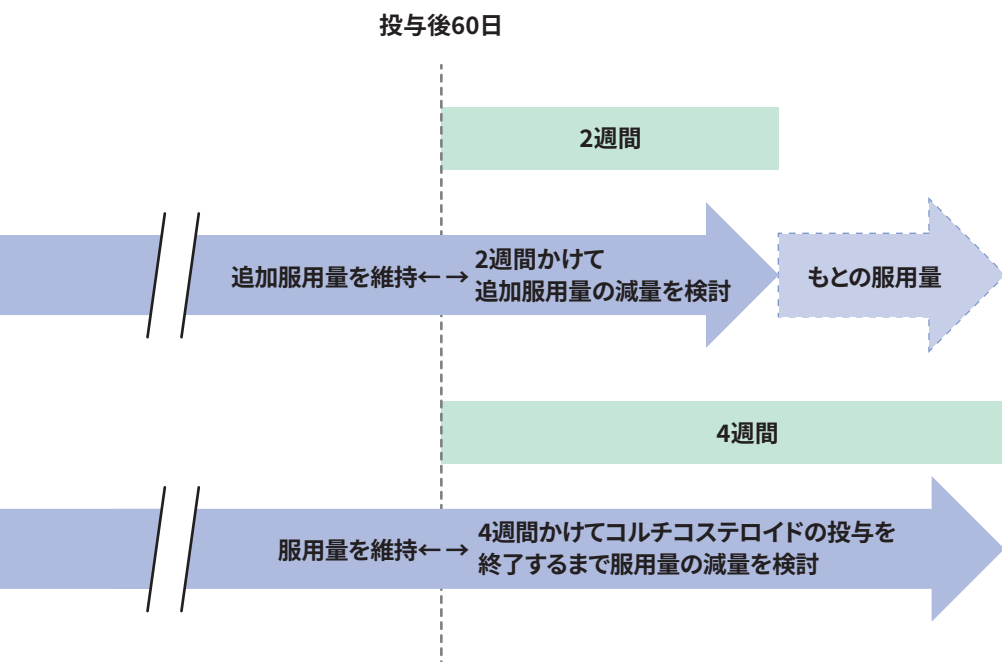
## コルチコステロイド(プレドニゾロンなど)の服用について

エレビジスに含まれるAAVrh74に対して起こる可能性があるリスクを軽減するため、コルチコステロイドという種類のお薬を服用する必要があります。このお薬は、エレビジス投与前から服用を開始し、投与後は患者さんの状態を確認しながら徐々に服用する量を減らしていきます。

### コルチコステロイド服用期間の例



コルチコステロイドは、DMDの治療薬として使われていることも多く、エリブジスの治療前後で服用する量は普段の服用量に応じて決定します。服用量と期間を26～28ページに記載しておき、必ず主治医の指示に従って服用するようにしてください。



肝機能異常がみられた場合は途中で増量

コルチコステロイドは免疫のはたらきを抑えるお薬です。エリブジスの治療を行うまでに、必要な予防接種を済ませるようにしましょう(16ページ)。特に高用量のコルチコステロイドの服用中は感染症にかかりやすくなるため、手洗いやうがいなどの一般的な感染症予防も大切です(18ページ)。

# エレビジスのリスクや注意事項について

重大な副作用が認められることがあります。  
次のような症状がみられた場合や、ほかにもいつもと様子が違うと  
感じた場合は主治医にお知らせください。

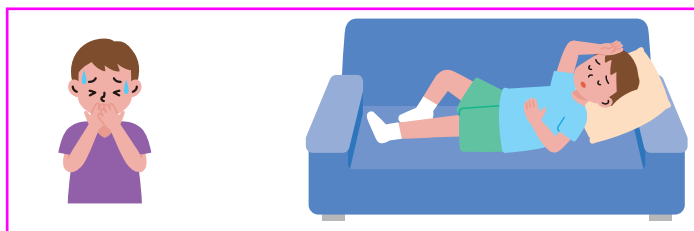
## 特に注意すべき副作用

### ● Infusion reaction (インフュージョンリアクション)

エレビジスの投与中または投与後数時間以内に急性の症状〔脈が速くなる、呼吸が速くなる、呼吸困難、じんましん、発疹、嘔吐（おうと）、発熱など〕があらわれることがあります。このような症状がみられた場合は、ただちに主治医や看護師などの医療関係者にお知らせください。

### ● 肝機能障害、急性肝不全

肝機能障害に伴う症状として、倦怠（けんたい）感、食欲不振、発熱、黄疸（おうだん、皮膚や白目が黄色くなる）、発疹、悪心・嘔吐、意識障害、出血傾向などがあらわれることがあります。このような症状がみられた場合は、ただちに主治医にお知らせください。海外では、肝機能が急激に悪化して急性肝不全で亡くなられた、歩行不能な患者さんが報告されています。このリスクを軽減するために、コルチコステロイドを服用する必要があります（12～13ページ）。また、定期的な検査による状態確認を行いますので、通院予定日には必ず受診してください（11ページ）。



### ● 筋炎

筋炎に伴う症状として、筋肉痛、筋圧痛、嚥下障害、呼吸困難、発声障害を含む筋力の低下などがあらわれることがあります。このような症状がみられた場合は、ただちに主治医にお知らせください。

## ●心筋炎

心筋炎に伴う症状として、胸痛や息切れなどがあらわれることがあります。このような症状がみられた場合は、**ただちに**主治医にお知らせください。また、定期的な心筋トロポニンIの測定※（11ページ）、場合によっては心臓超音波検査による状態確認を行います。

※：測定時に心電図検査をあわせて**行う**場合があります。

## ●横紋筋融解症

横紋筋融解症に伴う症状として、筋肉痛、手足のしびれ、脱力感、こわばり、だるさや赤褐色の尿などがあらわれることがあります。このような症状がみられた場合は、**ただちに**主治医にお知らせください。

## その他の副作用

### ●悪心・嘔吐

### ●発熱

投与から一定の期間であらわれることがあります。  
症状がみられた場合は、医療機関を受診してください。



## その他のリスクや注意事項

### ●エレビス投与による次世代への影響について

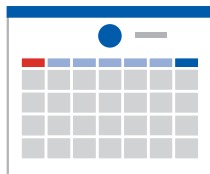
エレビスが次世代へ及ぼす影響については、明らかになっていません。分からないことや不安なことがあれば、主治医にご相談ください。

動物の組織を用いた評価の結果※、エレビスの遺伝子が患者さんの遺伝子に組み込まれて次世代に受け継がれる可能性は低いと考えられています。

※：雄マウスの精巣において、検出されたエレビスはごくわずかでした。

# エレビジスの投与に向けた準備

## 日程の調整



エレビジス投与後4週間までは、体液や排せつ物が環境に拡散しないような対策(19ページ)などが必要になります。

投与後4週間までを目安に、患者さんは休園・休学し、ご家族の方はお仕事などの予定をご調整ください。具体的な期間は主治医とご相談ください。

## 予防接種(13ページ)



予防接種のスケジュールを立てて、エレビジス投与前に行うコルチコステロイドの服用を開始する前までに、対象となっている定期接種のワクチンを完了してください。エレビジスの投与時期によっては、季節性インフルエンザワクチンなどの接種も積極的にご検討ください。

## コルチコステロイドの服用(12～13ページ)



コルチコステロイドを服用している方は投与前日から増量し、服用していない方は1週間前から服用する必要があります。主治医の指示に従って必ず服用してください。

## 感染症予防など体調管理



コルチコステロイドは患者さんの免疫のはたらきを抑えますので、主治医の指示に従って感染対策を行ってください。また、同居しているご家族を含め、手洗いやうがいなどの一般的な感染症予防(18ページ)も心がけてください。

# エレビジスの投与後の注意事項

## 患者さんご家族が注意すべき症状(14～15ページ)

次のような症状がみられた場合は、すぐに主治医にお知らせください。  
また、定期的な検査による状態の確認を行いますので、  
通院予定日には必ず受診してください。

### ● 投与後数時間以内

- ✓ 脈が速くなる、呼吸が速くなる、呼吸困難、じんましん、発疹、嘔吐、発熱など  
[Infusion reaction(インフュージョンリアクション)※の可能性]

※:エレビジスの投与中または投与後数時間以内にあらわれる急性の症状のこと

### ● 投与後一定期間

- ✓ 倦怠感、食欲不振、発熱、黄疸、発疹、悪心・嘔吐、意識障害、出血傾向など  
[肝機能障害、急性肝不全の可能性]
- ✓ 筋肉痛、筋圧痛、嚥下障害、呼吸困難、発声障害を含む筋力の低下など  
[筋炎の可能性]
- ✓ 出血が止まりにくい、内出血の増加など[血小板減少症の可能性]
- ✓ 胸痛や息切れなど[心筋炎の可能性]
- ✓ 筋肉痛、手足のしびれ、脱力感、こわばり、だるさや赤褐色の尿など  
[横紋筋融解症の可能性]
- ✓ 悪心・嘔吐
- ✓ 発熱

## エレビジスの投与後の注意事項

### 感染症予防など体調管理について

コルチコステロイドの服用によって患者さんの免疫力が下がります。投与前に引き続き、主治医の指示に従って感染対策を行い、同居しているご家族を含め、手洗いやうがいなどの一般的な感染症予防も心がけてください。

感染症の流行状況によって、季節性インフルエンザワクチンなどの予防接種を受けてください。コルチコステロイド服用中は生ワクチン[麻しん(はしか)・風しん、水痘(水ぼうそう)など]が禁忌となる場合があるため、接種にあたっては主治医とよく相談してください。

かぜに似た症状(発熱、のどの痛み、せき、くしゃみ、鼻水)がみられた場合は、すぐに医療機関を受診してください。

エレビジス投与から一定の期間は治療を受けた医療機関を受診してください。ほかの医療機関を受診する必要がある場合は、エレビジスの治療を受けたことを必ずお伝えください(23ページ)。

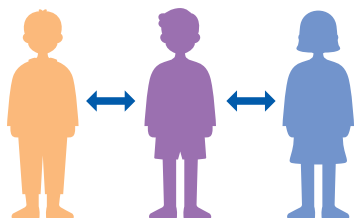
### 一般的な感染症予防の例

#### ● 手洗い、うがい



手は汚れやすいので、こまめに洗いましょう。せっけんを使って指先から手首までしっかり洗い、清潔なタオルで水分を拭きとります。外出中など、手洗いができる場所が近くない場合は、アルコール消毒を行います。また、帰宅時などはうがいを行い、口の中やのどのウイルスなどを洗い流すようにしましょう。

#### ● 接触の回避



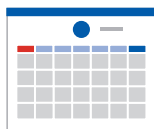
かぜの症状がみられる人と接触しないようにしましょう。ウイルス感染症(季節性インフルエンザや水痘など)が園や学校で広く流行している場合や、同じクラス内で流行している場合は、休園・休学することをご検討ください。

季節性インフルエンザの流行時期などは、なるべく人混みを避けて行動することが望ましいです。そのような時期に不特定多数の人がいる場所へ行く場合は、マスクを装着することも大切です。

## 体液や排せつ物の取扱い

エレビジスの投与から一定の期間、患者さんの体液（鼻水、唾液、涙、血液など）や排せつ物（嘔吐物、尿、便など）にエレビジス由来のAAVrh74が含まれる可能性があります。エレビジスに含まれるAAVrh74は遺伝子組換えを行っていますので、環境に拡散しないような対策が必要になります。

エレビジス投与後4週間までは、次の対策を厳守してください。



患者さんは休園・休学し、ご家族の方はお仕事などの予定をご調整ください。詳細については主治医とご相談ください。



患者さんの体液や排せつ物に触れる可能性がある場合は、必ずマスクと手袋を装着してください。



衣類やタオル、寝具などに患者さんの体液や排せつ物が付着した場合、時間を置かずにすみやかに洗濯してください。また、ほかの洗濯物と一緒に洗濯しないようにしてください。



洗えない場所に患者さんの体液や排せつ物が付着した場合、吸水シートなどで拭きとり、次亜塩素酸ナトリウムの消毒液で清拭してください。使用した吸水シートなどは下記に記載の方法で処理してください。



患者さんの体液や排せつ物が付着した廃棄物は、袋を二重にするなど廃棄物が袋から出ないように工夫した上で、可燃ごみに出してください。



エレビジスによる治療を受けた医療機関以外で血液検査を受ける場合は、主治医にご相談ください。

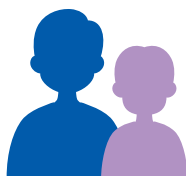
※血液検査に限らず、ほかの医療機関を受診する際には、エレビジスの治療を受けたことを必ずお伝えください（23ページ）。

# エレビスの投与後の注意事項

## ご家族との接触

今後エレビスによる治療を受ける可能性があるご家族がいらっしゃる場合は、治療を受けられなくなる可能性がありますので、治療を受けた方との接触を避ける必要があります。

エレビス投与後4週間までは、次の対策を厳守してください。



ご家族の中に、エレビスによる治療を受けた方以外にもDMD患者さんがいらっしゃる場合、治療を受けた方との接触によって抗AAVrh74抗体ができ、エレビスによる治療を受けられなくなる可能性があります(11ページ)。家庭内での接触を避ける、一時的に親戚の家やホテルなどで過ごすといった対応を考慮してください。

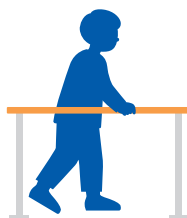
## 治療後の検査・DMDにおける支持療法について

エレビスによる治療を受けた後もDMDの診療を必ず受けてください。必要に応じて、次のような支持療法を行います。

### ● コルチコステロイドの服用



### ● リハビリテーション



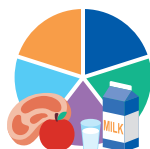
### ● 整形外科的ケア

脊柱側弯<sup>※1</sup>や関節拘縮<sup>※2</sup>に対するケアなど



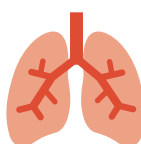
### ● 栄養学的ケア

食事指導、栄養チューブや胃ろうなど



### ● 呼吸器ケア

人工呼吸器など



### ● 循環器ケア

心筋症・不整脈治療など



※1: せきちゅうそくわん、背骨の周りの筋肉が弱いために背骨がうねるように曲がること

※2: かんせつこうしゅく、関節を伸ばしたり、曲げたりできなくなること

## 継続的な受診

エレビジスの投与後に次のような検査を行います。

- 副作用の確認
- ノース・スター歩行能力評価 (North Star Ambulatory Assessment、NSAA)
- 床上起き上がり時間
- 10m歩行／走行時間

など

なお、エレビジスによる治療を受けた患者さんは、エレビジスの安全性を確認する製造販売後調査(全例調査)へのご協力をお願いいたします。同意いただいた患者さんにおいては、個人情報を保護した上で結果の公表やデータの二次利用を行う場合があります。



# エレビスの投与後の注意事項

## ご家族の方へ

エレビスによる治療は患者さんが低年齢の時点で行われますので、患者さんの成長に合わせて病気や治療について説明していく必要があります。さまざまな相談ができるように、医療機関とつながりを持っておくことが大切です。

### ● 遺伝カウンセリング

主に病気の遺伝に関する内容を説明します。患者さんの理解度に合わせて、主治医が遺伝に関するさまざまな専門職の医療関係者と協力して実施します。

遺伝の専門医である「臨床遺伝専門医」のほか、公認心理師（臨床心理士）や認定遺伝カウンセラー<sup>®</sup>などの専門職があり、患者さんやご家族の疑問や悩み、不安などを解消していくためのお手伝いをします。医療施設によっては在籍していないことがありますので、各施設にご確認ください。

### ● エレビスによる治療の説明

エレビスによる遺伝子補充療法についてや、治療を受けるにあたって必要なことを、治療前に患者さんにご家族へ説明します。

また、患者さんの理解度や成長に応じて、治療を受けたことをご家族から段階的に説明した方がよい場合もあります。ご家族から説明される場合も、医療関係者がサポートします。



## 日常生活での注意事項

- 体調に異常を感じた場合はすぐに主治医に連絡してください。
- 定期的な検査による状態の確認を行いますので、通院予定日には必ず受診してください(11ページ)。
- コルチコステロイドは主治医の指示に従って服用を続けてください(12～13ページ)。
- 感染症予防を行ってください(18ページ)。
- エレビジスによる治療を受けた患者さんは、献血および臓器などの提供ができません。
- 引っ越しなどによりエレビジスによる治療を受けた医療機関に通院できなくなっても、継続的な受診が必要です。医療機関の変更について、現在の主治医にご相談ください。
- 「エレビジス 治療連絡カード」を常に携帯してください。
- 緊急時を含め、通院している医療機関以外の施設で治療を受ける必要がある場合、「エレビジス 治療連絡カード」を提示するなど、エレビジスによる治療を受けたことを必ず伝えてください。

### エレビジス 治療連絡カード

## エレビジスの治療日程表

| エレビジス投与スケジュール     |   |   |      |
|-------------------|---|---|------|
| 投与前検査日<br>(11ページ) | 年 | 月 | 日( ) |
| 入院日               | 年 | 月 | 日( ) |
| 投与日               | 年 | 月 | 日( ) |
| 退院日               | 年 | 月 | 日( ) |
| ロット番号             |   |   |      |

## MEMO

---



---



---



---



---



---



---



---



## 投与前のチェックリスト

☐ 保育園や幼稚園、学校を休むことを連絡した

☐ コルチコステロイドを指示通りに服用した

☐ せきや発熱など感染症の症状はみられない

### 予防接種の状況

☐ B型肝炎

☐ ロタウイルス

☐ 小児用肺炎球菌

☐ 五種混合（ジフテリア、百日せき、破傷風、ポリオ、ヒブ）

☐ BCG

☐ MR（麻しん、風しん混合）

☐ 水痘

☐ 日本脳炎

☐ 季節性インフルエンザウイルス（流行に備えて接種をご検討ください）

☐ （任意接種）新型コロナウイルス

☐ （任意接種）おたふくかぜ

☐ （任意接種）髄膜炎菌

※実施したら□に✓を入れてください。

# エレビス投与のための コルチコステロイド服用スケジュール

エレビス投与のためのコルチコステロイドの服用量と期間は、患者さんによって異なります。状態に合わせて変更されることもありますので、決められた量を正しく服用してください。

## 使い方と注意点

- あなたの服用量と期間は医療機関の方に記載してもらってください
- メモ欄には飲んだ日または飲めなかった日を記入するなど、服用状況を記録しましょう

以前から服用しているコルチコステロイドは  
決められた量を別に服用してください

## エレビス投与日まで

|            |                                                                           |
|------------|---------------------------------------------------------------------------|
| 期間         | 月 日 ~ 月 日                                                                 |
| お薬の名前(一般名) |                                                                           |
| 服用量        | <input type="checkbox"/> 毎日 mg<br><input type="checkbox"/> 曜日に mg、 曜日に mg |
| メモ         |                                                                           |

※期間、お薬の名前(一般名)および服用量は医療機関の方が記載してください。

## エレビス投与日の翌日から

|            |                                                                           |
|------------|---------------------------------------------------------------------------|
| 期間         | 月 日 ~ 月 日                                                                 |
| お薬の名前(一般名) |                                                                           |
| 服用量        | <input type="checkbox"/> 毎日 mg<br><input type="checkbox"/> 曜日に mg、 曜日に mg |
| メモ         |                                                                           |
| 期間         | 月 日 ~ 月 日                                                                 |
| お薬の名前(一般名) |                                                                           |
| 服用量        | <input type="checkbox"/> 毎日 mg<br><input type="checkbox"/> 曜日に mg、 曜日に mg |
| メモ         |                                                                           |
| 期間         | 月 日 ~ 月 日                                                                 |
| お薬の名前(一般名) |                                                                           |
| 服用量        | <input type="checkbox"/> 毎日 mg<br><input type="checkbox"/> 曜日に mg、 曜日に mg |
| メモ         |                                                                           |
| 期間         | 月 日 ~ 月 日                                                                 |
| お薬の名前(一般名) |                                                                           |
| 服用量        | <input type="checkbox"/> 毎日 mg<br><input type="checkbox"/> 曜日に mg、 曜日に mg |
| メモ         |                                                                           |

※期間、お薬の名前(一般名)および服用量は医療機関の方が記載してください。

|            |                                                                                                               |
|------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 期間         | 月 日 ~ 月 日                                                                                                     |
| お薬の名前(一般名) |                                                                                                               |
| 服用量        | <input type="checkbox"/> 毎日            mg<br><input type="checkbox"/> 曜日に        mg、            曜日に        mg |
| メモ         |                                                                                                               |
| 期間         | 月 日 ~ 月 日                                                                                                     |
| お薬の名前(一般名) |                                                                                                               |
| 服用量        | <input type="checkbox"/> 毎日            mg<br><input type="checkbox"/> 曜日に        mg、            曜日に        mg |
| メモ         |                                                                                                               |
| 期間         | 月 日 ~ 月 日                                                                                                     |
| お薬の名前(一般名) |                                                                                                               |
| 服用量        | <input type="checkbox"/> 毎日            mg<br><input type="checkbox"/> 曜日に        mg、            曜日に        mg |
| メモ         |                                                                                                               |
| 期間         | 月 日 ~ 月 日                                                                                                     |
| お薬の名前(一般名) |                                                                                                               |
| 服用量        | <input type="checkbox"/> 毎日            mg<br><input type="checkbox"/> 曜日に        mg、            曜日に        mg |
| メモ         |                                                                                                               |

※期間、お薬の名前(一般名)および服用量は医療機関の方が記載してください。

## エレビス投与後の検査スケジュール

エレビスの投与後は次の検査を行う必要があります(11ページ)。

下記のスケジュール以外でも医師の判断で検査が実施・継続されることがあります。

また、必要に応じてその他の検査も行います。

| 投与後 |   | 予定日 | 肝機能<br>検査 | 血小板数<br>測定 | 心筋トロポニンI<br>測定 |
|-----|---|-----|-----------|------------|----------------|
| 月   | 週 |     |           |            |                |
| 1   | 1 | 月 日 | ●         | ●          | ●              |
|     | 2 | 月 日 | ●         | ●          | ●              |
|     | 3 | 月 日 | ●         | ●          | ●              |
|     | 4 | 月 日 | ●         | ●          | ●              |
| 2   | 1 | 月 日 | ●         | ●          | ○              |
|     | 2 | 月 日 | ●         | ●          | ○              |
|     | 3 | 月 日 | ●         | ●          | ○              |
|     | 4 | 月 日 | ●         | ●          | ○              |
| 3   | 1 | 月 日 | ●         | ●          | ○              |
|     | 2 | 月 日 | ●         | ●          | ○              |
|     | 3 | 月 日 | ●         | ●          | ○              |
|     | 4 | 月 日 | ●         | ●          | ○              |

○：医師が必要と判断した場合に検査を実施します。

| 投与後<br>月 | 予定日 | 肝機能<br>検査 | 血小板数<br>測定 | 心筋トロポニンT<br>測定 |
|----------|-----|-----------|------------|----------------|
| 4        | 月 日 | ○         | ○          |                |
| 5        | 月 日 | ○         | ○          |                |
| 6        | 月 日 | ●         | ●          | ●              |
| 7        | 月 日 |           |            |                |
| 8        | 月 日 |           |            |                |
| 9        | 月 日 | ○         | ○          |                |
| 10       | 月 日 |           |            |                |
| 11       | 月 日 |           |            |                |
| 12       | 月 日 | ●         | ●          | ●              |

○：医師が必要と判断した場合に検査を実施します。

## MEMO

---



---



---



---

## 通院スケジュール

エレビジス投与後は検査のために、定期的に通院する必要があります(21ページ)。  
通院予定日を忘れないように記入しておきましょう。また、通院日までに体の変化で  
気付いたことがあれば記入しておき、診察の際などに主治医にお伝えください。

| 通院予定日                  | メモ(体の変化で気付いたこと)※      |
|------------------------|-----------------------|
| 記入例<br>2025 年 10 月 1 日 | ・9月20日に微熱があり、〇〇病院を受診。 |
| 年 月 日                  |                       |
| 年 月 日                  |                       |
| 年 月 日                  |                       |
| 年 月 日                  |                       |
| 年 月 日                  |                       |
| 年 月 日                  |                       |
| 年 月 日                  |                       |
| 年 月 日                  |                       |
| 年 月 日                  |                       |
| 年 月 日                  |                       |
| 年 月 日                  |                       |

※:副作用と思われる症状のように体の変化で気付いたことのほかにも、先生に聞きたいことなどを自由に記入できます。以前からの変化をまとめていただいても構いません。

| 通院予定日            | メモ(体の変化で気付いたこと)※ |
|------------------|------------------|
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |

※:副作用と思われる症状のように体の変化で気付いたことのほかにも、先生に聞きたいことなどを自由に記入できます。以前からの変化をまとめていただいても構いません。

| 通院予定日            | メモ(体の変化で気付いたこと)※ |
|------------------|------------------|
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |

※:副作用と思われる症状のように体の変化で気付いたことのほかにも、先生に聞きたいことなどを自由に記入できます。以前からの変化をまとめていただいても構いません。

| 通院予定日            | メモ(体の変化で気付いたこと)※ |
|------------------|------------------|
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |

※：副作用と思われる症状のように体の変化で気付いたことのほかにも、先生に聞きたいことなどを自由に記入できます。以前からの変化をまとめていただいても構いません。

| 通院予定日            | メモ(体の変化で気付いたこと)※ |
|------------------|------------------|
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |

※:副作用と思われる症状のように体の変化で気付いたことのほかにも、先生に聞きたいことなどを自由に記入できます。以前からの変化をまとめていただいても構いません。

| 通院予定日            | メモ(体の変化で気付いたこと)※ |
|------------------|------------------|
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |

※:副作用と思われる症状のように体の変化で気付いたことのほかにも、先生に聞きたいことなどを自由に記入できます。以前からの変化をまとめていただいても構いません。

| 通院予定日            | メモ(体の変化で気付いたこと)※ |
|------------------|------------------|
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |

※:副作用と思われる症状のように体の変化で気付いたことのほかにも、先生に聞きたいことなどを自由に記入できます。以前からの変化をまとめていただいても構いません。

| 通院予定日            | メモ(体の変化で気付いたこと)※ |
|------------------|------------------|
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |
| <div>年 月 日</div> |                  |

※：副作用と思われる症状のように体の変化で気付いたことのほかにも、先生に聞きたいことなどを自由に記入できます。以前からの変化をまとめていただいても構いません。

|              |                                                                                   |
|--------------|-----------------------------------------------------------------------------------|
| <b>お名前</b>   | 生年月日                      年          月          日                                 |
| <b>緊急連絡先</b> |  |

| エレビジスによる治療を受けた医療機関 |                                                                                   |
|--------------------|-----------------------------------------------------------------------------------|
| 医療機関名              |  |
| 主治医名               | 先生                                                                                |

目的欄には、医療機関への通院目的（かかりつけ医、リハビリテーション、副作用の相談）などをご記入ください。

|        |                                   |
|--------|-----------------------------------|
| 医療機関名① | ☎                                 |
| 主治医名   | 先生                                |
| 目的     | かかりつけ医・リハビリテーション・副作用の相談<br>その他( ) |

|        |                                   |
|--------|-----------------------------------|
| 医療機関名② | ☎                                 |
| 主治医名   | 先生                                |
| 目的     | かかりつけ医・リハビリテーション・副作用の相談<br>その他( ) |



中外製薬

 ロシュ グループ