



ゾキンヴィを服用されている 患者さんとそのご家族の方へ

監修

大分大学 医学部 小児科学講座

教授 **井原 健二** 先生

はじめに

治療にあたっては、病気や治療法、そして用いるお薬について正しく理解することがとても大切です。

この冊子では、ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群(以下 HGPS)とプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー(以下 PDPL)の原因や症状について述べ、さらにこれら疾患の治療薬である「ゾキンヴィ」の作用機序、効果、服用方法、副作用について解説しています。

主治医、看護師、薬剤師など医療スタッフが連携して患者さんをご家族をサポートします。

何か分からないこと、疑問に思うこと、不安なことがあれば、いつでも遠慮なくご相談ください。

目 次

はじめに	2
HGPSの原因・症状とゾキンヴィの作用	4
PDPLの原因・症状とゾキンヴィの作用	6
ゾキンヴィの服用前にご注意いただくこと	8
ゾキンヴィの服用のしかた	9
ゾキンヴィの服用中にご注意いただくこと	12
ゾキンヴィの主な副作用	13
参考：医療費助成	14

HGPSの原因・症状とゾキンヴィの作用

病気の原因

HGPSは、**LMNA**と呼ばれる遺伝子の異常が原因で起こる遺伝病です。

LMNA遺伝子には、「細胞分裂の際に細胞の核を支える**“ラミンA”**という**タンパク質を作る**」という働きがあります。HGPSでは、LMNA遺伝子の異常により正常なラミンAを作ることができず、プロジェリンという異常なタンパク質が作られます。そして、プロジェリンが細胞の異常を引き起こし老化が促進します。

ラミンAタンパク質が作られる過程

体内でラミンAが作られる過程の中で“**ファルネシル基**”というものがラミンAのもととなるタンパク質に付きます。このファルネシル基の付いた部分が最終的に切断されることにより成熟ラミンA*が産生されます。

*最終的な機能を持つラミンA

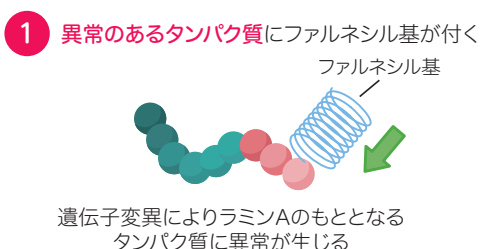
正常な状態

正常な状態では、ファルネシル基の付いた部分が最終的に切断されて成熟ラミンAとなります。

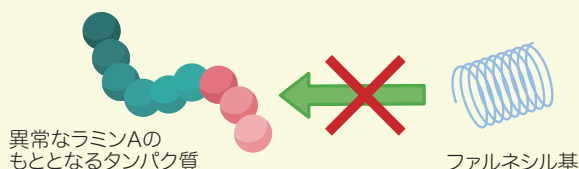


LMNA遺伝子に異常がある状態

ラミンAのもととなるタンパク質に異常があります。その結果、切断部分に異常が生じ、ハサミの役割を担う切断酵素でファルネシル基の付いた部分を切断することができなくなります。



ゾキンヴィの作用



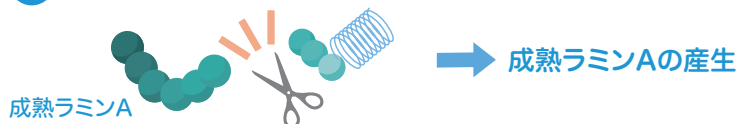
● 病気の症状

乳児期から全身の老化現象を呈し、年齢を重ねるとともに以下のような症状が現れます。

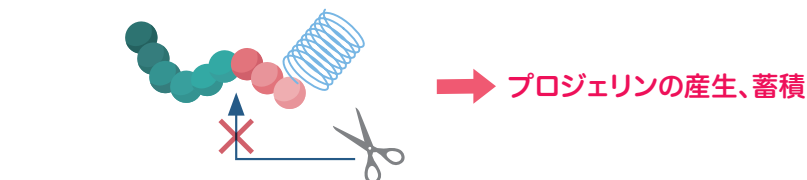
- 成長障害(身長体重の増加率の減少)
- 皮膚の萎縮や硬化
- 脱毛
- 関節拘縮(関節が固くなって手足の関節の曲げ伸ばしがしにくい状態)
- 特徴的顔貌(前額突出、小顎など)

また、年齢が進むとともに動脈硬化性疾患による脳血管障害や心血管疾患が現れることがあります。(補足:精神運動機能、知能は正常に発達します。)

2 ファルネシル基の付いた部分が切断される



2 ファルネシル基の付いた部分が切断されない



ゾキンヴィがファルネシル基の結合を阻害

ゾキンヴィは、ラミンAのもととなるタンパク質にファルネシル基が結合することを阻害します。これにより、プロジェリンが作られにくくなり、病気の進行が抑制されます。

PDPLの原因・症状とゾキンヴィの作用

病気の原因

早老症の中には、HGPS以外にも異常なラミンA（プロジェリンに似たタンパク質）ができる病気があります。これらの総称がPDPLで、代表的な病気として下顎末端異形成症B型（MADB）があげられます。MADBはZMPSTE24と呼ばれる遺伝子の異常が原因で起こります。また、LMNA遺伝子にHGPSとは異なる変異がある病気も報告されており、これもPDPLの一種と考えられています。

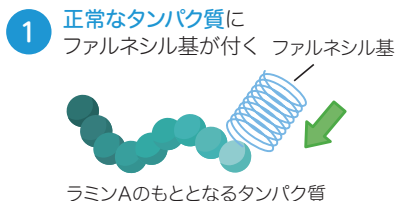
ラミンAタンパク質が作られる過程

体内でラミンAが作られる過程の中で“ファルネシル基”というものがラミンAのもととなるタンパク質に付きます。このファルネシル基の付いた部分が最終的に切断されることにより成熟ラミンA*が産生されます。

*最終的な機能を持つラミンA

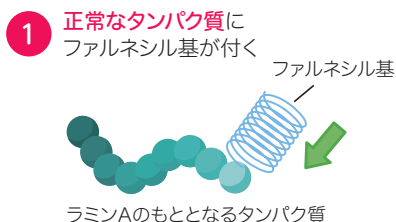
正常な状態

正常な状態では、ファルネシル基の付いた部分が最終的に切断されて成熟ラミンAとなります。



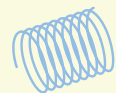
MADBの場合 (ZMPSTE24遺伝子に異常がある状態)

ハサミの役割を担う切断酵素を作り出す遺伝子（ZMPSTE24遺伝子）に異常があり、酵素が欠失しているか不十分な状態となります。その結果、ファルネシル基の付いた部分を切断することができなくなり、プロジェリンに似たタンパク質が産生、蓄積されます。



ゾキンヴィ の作用

ラミンAの
もととなるタンパク質



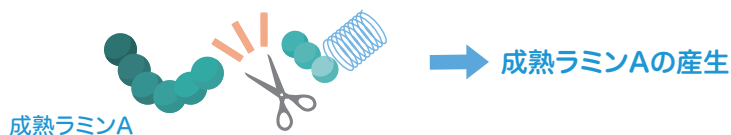
ファルネシル基

● 病気の症状

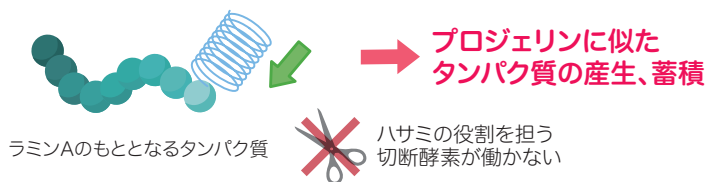
MADBでは以下のような症状がみられます。

- 小顎
- 脂肪萎縮症
- 成長障害
- 脆弱毛または薄毛
- 皮膚の萎縮
- インスリン抵抗性
- 鎖骨形成不全（骨格形成不全に関連する可能性があります）
- 末節骨の先端骨溶解症

2 ファルネシル基の付いた部分が切断される



2 ファルネシル基の付いた部分が切断されない



ゾキンヴィがファルネシル基の結合を阻害

ゾキンヴィは、ラミンAのもととなるタンパク質にファルネシル基が結合することを阻害します。これにより、プロジェリンに似たタンパク質が作られにくくなり、病気の進行が抑制されます。

服用前にご注意いただくこと

服用に注意が必要な方

次の患者さんはゾキンヴィを服用できない、または服用に注意が必要です。必ず主治医にお伝えください。

- ☐ ゾキンヴィを以前に服用し、アレルギー等の過敏症状が出たことがある方
- ☐ 心臓、腎臓、肝臓の病気にかかっている方、または過去にかかった方
- ☐ 妊娠中または妊娠している可能性のある方、授乳中の方
- ☐ 妊娠可能な女性及びパートナーが妊娠する可能性のある男性
- ☐ 生後12ヵ月未満の新生児及び乳児

他のお薬の服用について

服用中の薬、及び新たに追加になったお薬は必ず全て主治医に伝え、服用は主治医の指示に従ってください。

- ゾキンヴィは、お薬の種類によっては一緒に服用できないお薬があります。必ず医師の指示に従ってください。
- お薬の組み合わせにより、ゾキンヴィ及び他のお薬の作用が強まったり、弱まったり、副作用が増強することがあります。
- お薬以外にも、グレープフルーツ含有食品、セイヨウオトギリソウ(セント・ジョーンズ・ワート)含有の健康食品は、ゾキンヴィと一緒に摂取することは避けてください。



グレープフルーツ含有食品



セント・ジョーンズ・ワート含有健康食品

ゾキンヴィの 服用のしかた

服用量及び回数

- 服用量は、患者さんの体表面積（身長と体重から計算）や状態などを考慮して処方されます。
- 1日2回 朝食と夕食の**食事中**または**食直後**に服用してください。
- 患者さんの状態に応じ、治療の途中で服用量の変更を指示される場合があります。
- ご自分の判断でお薬の量を変更したり、服用を中止しないでください。
- **必ず主治医の指示どおりに服用してください。**



ゾキンヴィ カプセル
50mg (黄色)



ゾキンヴィ カプセル
75mg (黄赤色)

あなたは、以下の数を食事中または食直後に服用してください。



朝

● 黄色のカプセル

個

● 黄赤色のカプセル

個



夕

● 黄色のカプセル

個

● 黄赤色のカプセル

個

注：□内に、主治医に指示されたカプセルの数をご記入ください。
主治医からの変更指示にご注意ください。

服用についてのご注意

- 胃腸障害の出現を抑えるため、空腹時には服用しないでください。

服用を忘れてしまった場合

- 次の服用までの時間が8時間以上であれば、できるだけ早く食事とともに、または食後すぐに服用し、8時間未満であれば、1回とばして次の決められた時間に1回分を服用してください。
- **決して2回分を一度に服用しないでください。**

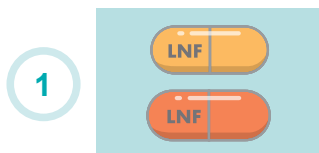
服用方法

- カプセルをコップ1杯程度の水またはぬるま湯で服用してください。
- カプセルを飲みこむことができない患者さんは、カプセルの内容物をオレンジジュースなどと混合して服用してください。

ゾキンヴィとオレンジジュースなどの混合液の作り方

服用ごとに新しく混合液を作り、10分以内に服用してください。
用いるジュースなどの種類については、必ず事前に主治医にご確認ください。
グレープフルーツジュースは副作用を増強するおそれがあるので、絶対に用いないでください。

● 用意するもの



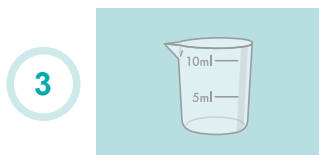
必要錠数のゾキンヴィカプセル

※カプセルは清潔な平らな面に置きます



オレンジジュースなど

※グレープフルーツジュースは絶対に用いないでください



5mL及び10mLのメモリが付いた

清潔な計量カップ



混ぜ合わせるための

清潔なカップ



混ぜ合わせるための

清潔なスプーン

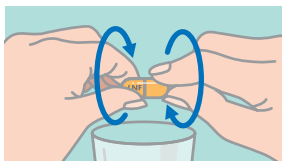
● 混合液の作り方

1



計量カップを用いて、
オレンジジュースなどを
5mLまたは10mL計量し、
カップに注ぎます

2



カップの上で、
カプセルを親指と人差し指で挟み、
静かにねじって離します

3



カプセルの内容物を
全てカップに入れます

4



スプーンでカプセルの内容物と
オレンジジュースなどを、よく混ぜます

※2カプセルを服用する場合は、別カップにて1～4の
操作を行い、2つ目のカプセルの混合液を作ります

5



混合液を作ってから
10分以内に全量を服用してください

※2カプセルを服用する場合は、混合液をそれぞれの
カップで飲んでも、1つのカップに一緒にして飲ん
でもかまいません
※混合液は服用ごとに作ってください

6



計量に用いた計量カップを洗い、
服用したカプセル1つにつき、
5mLの水を入れます

7



カップに残った混合液を残さず服用するため、
カップにステップ6で計量した水を
静かに混ぜ、その水を飲んでください

75mgカプセルの半量服用を指示された患者さん

75mgカプセルの内容物を10mLのオレンジジュースなどと混合し、混合液の半分の量(5mL)を服用してください。残りは捨ててください。

服用中にご注意いただくこと

● 症状についてのご注意

服用開始から数ヵ月間、または増量後に、嘔吐や下痢などの消化器症状が多くみられます。**ご心配な症状については、主治医にご相談ください。**

● 検査についてのご注意

治療中は、病状やお薬の効果、副作用の有無を確認するため、いくつかの検査を定期的に受けていただきます。

● お薬の取り扱いについてのご注意

- お薬は30個のカプセルの入った白色ボトルで渡されます。カプセルは、取り出して小分け保存したりせず、必ずボトルの中で保存してください。
- 冷蔵を避けて、室温(30℃以下)で保存してください。
- 開封後は、湿気を防ぐため、ボトル内の乾燥剤は取り出さず、使用の都度ボトルのキャップをしっかりと閉めてください。
- お子さんの手がとどかない場所に保管してください。

● 開封時のご注意

- お薬が入ったボトルはお子さんが開けにくいように工夫されています。開封時にはキャップを下に押したまま回して開けてください。

下に押したまま回す



ゾキンヴィの 主な副作用

注意が必要な副作用とその症状

これらの症状が現れた場合は、すぐに主治医にご連絡ください。

● 重度の下痢

何度も水のような便が出る、下腹部の痛み、体がだるい、発熱などの症状がみられます。

● 肝機能障害

疲れやすい、体がだるい、力が入らない、吐き気、食欲減退などの症状がみられます。

● QT間隔延長

心電図異常の一種で、めまい、動悸、気を失うなどの症状が起こることがあります。

● この他にも、頻度の高い副作用として下記の症状がみられます。

ご心配な症状がありましたら、主治医にご相談ください。

- 食欲減退
- 嘔吐
- 下痢
- 悪心
- 腹痛
- 疲労
- AST増加
- 体重減少
- ALT増加

小児慢性特定疾病医療費助成制度

HGPSの小児患者さんは、「小児慢性特定疾病医療費助成制度」を利用して、医療費の助成を受けることができます。

適用の条件

18歳未満の患者さんが対象です。ただし、18歳到達時点においても助成の対象になっており、かつ、18歳到達後も引き続き治療が必要と認められる場合には、20歳未満まで延長が可能です。

自己負担上限額

自己負担上限額は、年収及び重症度によって変わります。

例えば、夫婦2人子1人で年収が約430万円～850万円の世帯では、自己負担の上限額は月額1万円となります。更に、重症※の場合は5000円、人工呼吸器等を装着する患者さんでは500円となります。

医療費助成における自己負担上限額（月額）【抜粋】

（単位：円）

階層区分	階層区分の基準 ()内の数字は、 夫婦2人子1人世帯の場合における年収の目安	自己負担上限額 (外来+入院) (患者負担割合：2割)		
		一般	重症※	人工呼吸器等 装着者
一般所得Ⅰ	市町村民税 課税以上7.1万円未満 (約200万円～約430万円)	5,000	2,500	500
一般所得Ⅱ	市町村民税 7.1万円以上25.1万円未満 (約430万円～約850万円)	10,000	5,000	
入院時の食費		全額自己負担		

※「重症」とは、以下の①または②のいずれかを満たす場合に認定されます。

①月ごとの医療費総額が5万円を超える月が年間6回以上ある場合（例えば義務教育就学前で医療保険が2割負担の場合、医療費の自己負担が1万円を超える月が年間6回以上）。

②厚生労働省が定める現行の「重症者規準 (<https://www.shouman.jp/assist/accreditation>)」に適合する場合。

小児慢性特定疾病情報センター「小児慢性特定疾病の医療費助成に係る自己負担上限額」を抜粋して作成
(<https://www.shouman.jp/assist/expenses>) (2026年8月17日閲覧)

申請方法

申請に必要な書類を揃えてお住まいの自治体に申請し、審査を経て、受給者証が交付されます。

詳細は小児慢性特定疾病情報センターのホームページへ
<https://www.shouman.jp/assist/>



指定難病医療費助成制度

HGPSは「指定難病」の認定を受けています(指定難病333)。

HGPSの患者さんは「難病医療費助成制度」を利用して、医療費の助成を受けられる場合があります。

適用の条件

適用の条件として「重症度」が規定されています。詳細は下記リンクをご参照、または医療スタッフにおたずねください。

自己負担上限額

自己負担上限額は、年収及び治療の額・期間によって変わります。

例えば、夫婦2人で年収が約370万円～810万円の世帯では、自己負担の上限額は月額2万円となります。更に、治療が高額かつ長期※の場合は1万円、人工呼吸器等を装着する患者さんでは1,000円となります。

医療費助成における自己負担上限額(月額)【抜粋】

(単位:円)

階層区分	階層区分の基準 ()内の数字は、 夫婦2人世帯の場合における年収の目安	自己負担上限額 (外来＋入院) (患者負担割合：2割)		
		一般	高額かつ長期※	人工呼吸器等 装着者
一般所得 Ⅰ	市町村民税 課税以上7.1万円未満 (約160万円～約370万円)	10,000	5,000	1,000
一般所得 Ⅱ	市町村民税 7.1万円以上25.1万円未満 (約370万円～約810万円)	20,000	10,000	
入院時の食費		全額自己負担		

※「高額かつ長期」とは、月ごとの医療費総額が5万円を超える月が年間6回以上ある者(例えば医療保険の2割負担の場合、医療費の自己負担が1万円を超える月が年間6回以上)。

難病情報センター「医療費助成における自己負担上限額(月額)」を抜粋して作成
(<https://www.nanbyou.or.jp/>) (2026年8月17日閲覧)

申請方法

申請に必要な書類を揃えて都道府県・指定都市に申請し、審査を経て、医療受給者証が交付されます。

詳細は難病情報センターホームページへ

<https://www.nanbyou.or.jp/>



MEMO

