

2014年12月22日

報道関係者各位

ノーベルファーマ株式会社

世界初のリンパ脈管筋腫症治療剤（mTOR 阻害剤） 「ラパリムス®錠 1mg」新発売のお知らせ

ノーベルファーマ株式会社（本社：東京都、社長：塩村仁）は、リンパ脈管筋腫症治療剤「ラパリムス®錠 1mg」（一般名：シロリムス）について、本日12月22日、発売を開始いたしましたのでお知らせいたします。

リンパ脈管筋腫症（Lymphangiomyomatosis：LAM）は妊娠可能な女性に好発する希少疾患[※]であり、遺伝子異常を起こした平滑筋様細胞（LAM細胞）が肺やリンパ節などで増殖し、肺において組織破壊を引き起こすことで嚢胞が形成される進行性の肺疾患です。

本剤の有効成分であるシロリムス（別名：ラパマイシン）は、イースター島の土壌から分離された放線菌 *Streptomyces hygroscopicus* の代謝産物であり、1970年代にマクロライド系抗生物質として見出されました。その後、シロリムスは免疫抑制作用を有することが明らかとなり、1999年9月に米国で、2001年3月にヨーロッパで「腎移植患者における臓器拒絶反応の予防」を効能・効果として承認され、2011年9月現在89カ国（日本未承認）で「Rapamune®」の販売名で使用されています。シロリムスは細胞の分裂や増殖、生存などを調節する哺乳類ラパマイシン標的タンパク質（mammalian target of rapamycin：mTOR）の作用を阻害することで免疫反応を抑制すると考えられています。

本剤のLAMに対する有効性を検証した臨床試験（CAST試験）は2003年に米国で開始されました。CAST試験はLAMや結節性硬化症（TSC）の肺外病変である血管筋脂肪腫（Angiomyolipoma：AML）の患者を対象に実施され、LAM患者における肺機能の改善やAMLの縮小が認められました。この結果を受け、LAM患者のみを対象とした国際多施設共同プラセボ対照二重盲検比較試験（MILES試験）が2006年に開始され、本剤の肺機能等の改善効果と安全性プロファイルが確認されました。さらに国内では日本人LAM患者を対象に、本剤の安全性の検討を主目的とした多施設共同の医師主導治験（MLSTS試験）が2年間の継続投与の計画で2012年8月に開始され、その1年間の中間報告の結果から日本人LAM患者に対する安全性に重大な問題は認められないことが確認されました。

これらの臨床試験の結果を踏まえて、ノーベルファーマは2013年10月に製造販売承認申請を行い、2014年7月に製造販売承認を取得しました。本剤はリンパ脈管筋腫症治療剤として世界で初めての薬剤であり、わが国のLAM患者さんの生活の質の向上に貢献できるものと確信しています。

【製品概要】

製 品 名：ラパリムス®錠 1mg

一 般 名：シロリムス

効 能 効 果：リンパ脈管筋腫症

包 装：PTP30 錠（10 錠×3）

薬 価：1 錠 1,285 円

製造販売元：ノーベルファーマ株式会社

製品サイト：<http://nobelpark.jp/>

※ 厚生労働省難治性疾患克服研究事業「呼吸不全に関する調査研究班」による 2006 年度の疫学調査では、LAM の有病率は人口 100 万対 1.9～4.5 人（全国で 242～574 人）と推定されています。なお、平成 25 年度（2013 年）の LAM の特定疾患医療受給者証所持者数は 586 人です。

ノーベルファーマについて

ノーベルファーマは、2003 年より必要なのに顧みられない疾患に対する医薬品の研究開発を通して医療に貢献してまいりました。アンメットニーズに応える医薬品の開発を目的とし、患者団体や医師会等が強く望む医薬品を優先的に開発しています。当社はオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）、適応外使用される医薬品の効能追加、小児用医薬品等のテーマに注力しています。現在、アンメットニーズ医薬品を中心に 14 製品の製造販売承認を取得し、内 9 製品がオーファンドラッグ指定品目です。

以上

【本件に関する問合せ先】

ノーベルファーマ株式会社

常務執行役員 コーポレート企画・管理本部長 菅谷 勉

〒103-0024 東京都中央区日本橋小舟町 12 番 10 号

Tel: 03-5651-1160