

報道関係者各位

**mTOR 阻害剤「ラパリムス錠 1 mg」「効能又は効果」追加承認
「ラパリムス顆粒 0.2%」剤形追加の承認のお知らせ**

ノーベルファーマ株式会社（本社：東京都中央区、代表取締役社長：塩村 仁）が販売している mTOR 阻害剤「ラパリムス錠 1 mg」の「効能又は効果」の追加ならびに「ラパリムス顆粒 0.2%」が承認されたことをお知らせいたします。

今回の承認は、岐阜大学 小児科 小関道夫先生を代表研究者とする医師主導治験、及び特定臨床研究に参画いただいた多くの先生方のご尽力、治験に参加いただいた患者さんのご協力、並びに国立研究開発法人 日本医療研究開発機構（AMED）及び国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所のご支援により「難治性脈管腫瘍及び難治性脈管奇形」の適応を追加、また同効能に対する剤形追加を取得することが出来ました。深く感謝申し上げます。

（ラパリムス顆粒 0.2%は、発売準備中です）

| | 効能又は効果 |
|---------------------|--|
| ラパリムス錠 1 mg | ○リンパ脈管筋腫症 ○下記の難治性脈管腫瘍及び難治性脈管奇形 リンパ管腫（リンパ管奇形）、リンパ管腫症、ゴーハム病、リンパ管拡張症 <u>血管内皮腫、房状血管腫、静脈奇形、青色ゴムまり様母斑症候群、混合型脈管奇形、クリッペル・トレノネー・ウエーバー症候群</u> |
| <u>ラパリムス顆粒 0.2%</u> | ○下記の難治性脈管腫瘍及び難治性脈管奇形 リンパ管腫（リンパ管奇形）、リンパ管腫症、ゴーハム病、リンパ管拡張症 <u>血管内皮腫、房状血管腫、静脈奇形、青色ゴムまり様母斑症候群、混合型脈管奇形、クリッペル・トレノネー・ウエーバー症候群</u> |

* 下線が新規に追加承認を受けた「効能又は効果」並びに新規に承認を受けた「剤形」です。

○「脈管腫瘍・脈管奇形」とは？

「脈管」というのは、「血管」と「リンパ管」を総合した名前です。

「脈管腫瘍」は、主には血管に腫瘍細胞が増殖する血管腫のことをさしますが、腫瘍細胞が増殖・退縮するため、短期間の間に大きくなったり、小さくなったりする傾向があ

ります。反対に「脈管奇形」は腫瘍と違い大きさはあまり変わりませんが、消えることはありません。長期的には成長とともに増大するとされており、思春期や妊娠、感染、外傷などをきっかけに悪化することもあります。参考 1)

○難治性脈管腫瘍・脈管奇形とは？

発生する場所や大きさ、症状によっては治療が長期にわたる場合もあり、治りにくい状態は“難治性”と呼ばれています。各疾患の症状にはいろいろありますが、痛みが続いたり、出血傾向がみられたり、病変の場所によっては呼吸がしづらいこともあります。生活面・整容面で困っていらっしゃる場合もあります。参考 1)

○治療方法は？

脈管腫瘍・脈管奇形の治療には、手術、レーザー治療、血管内治療などがあります。薬物治療では、症状に対しては、痛み止め（アセトアミノフェンなど）、止血剤（トラネキサム酸など）が使われてきました。病気そのものに対しては、ステロイド・抗がん剤などが使用されていましたが、最近ではラパリムス錠を皮切りに様々な分子標的薬が注目されてきています。参考 1)

○難治性の脈管腫瘍及び脈管奇形の患者数は？

日本では難治性の脈管腫瘍及び脈管奇形の患者は約 6,000 人～8,000 人（本剤の承認効能ではない動静脈奇形、スタージ・ウェーバー症候群などを含む）と推定されています。

○ノーベルファーマ株式会社は、ラパリムス錠が難治性脈管腫瘍・脈管奇形の患者さまの治療の選択肢の 1 つとなり、少しでもお役たちできることを願っております。

また、ノーベルファーマのコーポレートサイトにはリンパ管疾患についてのサイトを開設しております。

<https://www.nobelpharma.co.jp/general/lymphangioma/>

参考 1)：難治性血管腫・血管奇形 薬物療法研究班 情報サイト
<https://cure-vas.jp/>

弊社は、今後もアンメットニーズ医薬品・医療機器の提供を通して社会に貢献してまいります。

【本件に関する問合せ先】

ノーベルファーマ株式会社
社長室 広報部長 工藤 登

〒104-0033 東京都中央区新川一丁目 17 番 24 号

Tel: 03-6670-3800