

2024年3月26日

ノーベルファーマ株式会社

報道関係者 各位

**自己免疫性肺胞蛋白症治療剤『サルグマリン<sup>®</sup>吸入用 250 $\mu$ g』  
製造販売承認取得のお知らせ**

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）は、自己免疫性肺胞蛋白症治療剤『サルグマリン<sup>®</sup>吸入用 250 $\mu$ g』（以下、本剤）が製造販売承認されたことをご知らせします。

本剤の承認では、新潟大学医歯学総合病院高度医療開発センターの中田光特任教授を代表研究者とする医師主導治験に参加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より取得することができましたこと、深く感謝申し上げます。

本剤は骨髄系前駆細胞の増殖及び分化の促進作用を有するサイトカインの一種である顆粒球・マクロファージコロニー刺激因子（GM-CSF）を、酵母により産生させた「サルグラモスチム（遺伝子組換え）」を主成分とする吸入剤です。本剤は、好中球、好酸球及び単球を増加させ、それらの機能を活性化することから、米国では1991年から急性骨髄性白血病における寛解導入化学療法後の好中球回復や末梢血幹細胞移植後の骨髄系細胞回復を適応とする注射剤として販売されていますが、自己免疫性肺胞蛋白症の適応は有しておらず、吸入剤としても承認されていません。

自己免疫性肺胞蛋白症は、抗 GM-CSF 自己抗体の過剰産生により成熟肺胞マクロファージによる肺サーファクタントを含む老廃物の分解が阻害されて発症します。これまで、自己免疫性肺胞蛋白症を効能又は効果として製造販売承認されている医薬品は国内外ともなく、自己免疫性肺胞蛋白症で治療効果が確立された治療法は、全身麻酔下で肺に生理食塩液を注入して蓄積した老廃物を洗い流す区域肺洗浄又は全肺洗浄のみでした。

全肺洗浄は術後に速やかな症状改善が期待できますが、入院を必要とする侵襲性が高い治療法であること、また、熟練の専門医がいる医療機関に治療機会が制限されることが臨床上の課題とされています。

本剤は、吸入により肺胞マクロファージに直接作用してその成熟を促し、成熟マクロファージによる肺サーファクタントを含む老廃物の分解を促進することで、肺機能を改善する薬剤です。

本剤の吸入療法は、区域肺洗浄又は全肺洗浄に比べて侵襲性が低く、既存治療に加えて臨床現場に新たな治療選択肢を提供できるものと確信しております。

自己免疫性肺胞蛋白症は2015年に指定難病に指定されており、国内の患者数は約730～770名と推定されています。本剤の承認により、自己免疫性肺胞蛋白症治療のお役に立てることを嬉しく思います。

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

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