

2018年3月23日

報道関係者各位

ノーベルファーマ株式会社

先駆け審査指定及び希少疾病用医薬品
結節性硬化症に伴う皮膚病変治療剤(mTOR阻害剤)ラパリムスゲル0.2%
製造販売承認取得

ノーベルファーマ株式会社(本社:東京都、社長:塩村仁)は、本日、結節性硬化症に伴う皮膚病変を効能・効果としたラパリムスゲル0.2%(一般名:シロリムス)について、製造販売承認を取得したことをお知らせいたします。

結節性硬化症は、遺伝性の希少疾患であり、発達障害や脳、皮膚、腎など全身の種々の臓器に腫瘍性病変を生ずる疾患です。中でも顔面の血管線維腫などの皮膚病変は高頻度に出現し、思春期頃より著明になる症状で、患者に苦痛を与え、生活の質を著しく低下させます。しかし、これに対する現行治療法は、外科手術やレーザー治療といったいずれも侵襲性の高い療法であり、小児や発達障害を伴う患者では施行が困難で、重篤になるまで無治療とされることが多く認められました。そのため、安全で簡便かつ有効な治療薬が長年切望されてきました。

このような状況のもと、大阪大学大学院医学系研究科情報統合医学皮膚科学教室金田眞理講師の研究グループは、結節性硬化症の病態からmTOR阻害剤であるシロリムスに注目し、これの外用治療薬の研究開発を進め、厚生労働省難治性疾患実用化研究支援事業、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)、大阪大学医学部附属病院薬剤部及び大阪大学医学部附属病院未来医療開発部の協力のもと結節性硬化症患者の顔面皮膚病変を対象とした医師主導治験(第I/II相試験)を実施し、シロリムスゲル剤が本症の血管線維腫に安全かつ極めて有効であることを明らかにしました。この研究成果は、米国科学誌「JAMA Dermatol. 2017 Jan 1;153(1):39-48」に掲載されています。

弊社では、上記研究成果を受けてラパリムスゲル0.2%について血管線維腫を有する患者を対象とした第III相比較試験及び長期投与試験により効果と安全性を検証し、世界に先駆けて2017年10月に製造販売承認を申請、6ヶ月に満たない短期間で2018年3月に承認取得となりました。

ラパリムスゲル0.2%は、2015年10月に先駆け審査指定制度において医薬品第1号に、2015年12月に希少疾病用医薬品に指定されました。また、開発の初期段階で国立研究開発法人新エネルギー・産業技術総合開発機構(NEDO)の助成を、後期段階で国立研究開発法人国立基盤・健康・栄養研究所の助成を受けております。

ラパリムスゲル 0.2%は、結節性硬化症に伴う皮膚病変に対して局所投与可能な唯一の薬剤として難病に苦しむ患者に新しい治療法を提供することができ、患者 QOL 改善への貢献も期待されています。

本剤の開発は、①アカデミア主体の研究成果であること、②医師主導治験により安全性と有効性が明らかにされたこと、③医師主導治験を企業が引き継ぎ、検証試験を実施したこと、④先駆け審査指定（特にコンシェルジェ制度）及び希少疾病用医薬品指定により製造販売承認申請から 6 ヶ月に満たないスピード承認となったこと、⑤産官学の連携が極めてうまく進んだこと、⑥先駆けの名にふさわしく海外開発を開始していること、が特筆されます。

以上

【本件に関する問合せ先】

ノーベルファーマ株式会社

管理本部長 早瀬 浩三

〒103-0024 東京都中央区日本橋小舟町 12 番 10 号

Tel: 03-5651-1160