

2012年3月30日

各 位

希少疾病用医薬品 遺伝子組換えヒトDNA分解酵素製剤 「プルモザイム[®]」の製造販売承認の取得について

中外製薬株式会社〔本社：東京都中央区／代表取締役会長 最高経営責任者：永山 治〕（以下、中外製薬）は本日、遺伝子組換えヒトデオキシリボ核酸（DNA）分解酵素製剤－販売名『プルモザイム[®]吸入液2.5mg』（以下、「プルモザイム[®]」）（有効成分：ドルナーゼ アルファ（遺伝子組換え））について、2012年3月30日に厚生労働省より、「嚢胞性線維症における肺機能の改善」を効能・効果として製造販売承認を取得したことをお知らせします。なお、本剤は当該効能・効果において希少疾病用医薬品に指定されています。

「プルモザイム[®]」は、2011年4月18日に開催された「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議*」において、既存データを用いての申請が妥当と評価され、2011年7月15日に海外データ等を用いて申請を行いました。海外の臨床試験では、プラセボを対照として嚢胞性線維症の患者さんに対して、本剤吸入による肺機能の改善および重症気道感染症に罹患するリスクを減らすことが確認されています。

嚢胞性線維症は、欧米では出生児約 2,500 人当たり一人の発症頻度を示す発症率が高い遺伝性疾患ですが、日本人では約 187 万人に一人と推定される極めて稀な疾患です。厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業「難治性膝疾患に関する調査研究班」が 2009 年に実施した全国疫学調査によると、国内での 2009 年単年中の推定患者数は 15 名と報告されています。嚢胞性線維症の原因は生体内の CFTR（塩素イオンチャネル）の遺伝子異常ですが治療法は確立していないため、呼吸器症状に対する去痰剤や気管支拡張剤の投与、感染症に対する吸入および全身性抗菌剤の投与など、対症療法を行っているのが現状です。

「プルモザイム[®]」は、嚢胞性線維症の患者さんの粘液・痰中に大量に含まれ粘稠性を高くしている好中球由来の DNA を分解し、喀痰を容易に排出させることにより肺機能を改善し、重症の気道感染症に罹患する頻度を減らすために使用されます。海外では、欧米をはじめとする約 70 カ国で承認され、標準治療の一つとして位置付けられており、年間約 5 万人の患者さんへ提供されています。

中外製薬は、本邦におけるこの極めて稀で難治性の高い疾患である嚢胞性線維症の患者さんへ、呼吸器症状のより適切なコントロールを可能にする新たな治療選択肢である「プルモザイム[®]」を提供することにより、治療に貢献して参ります。

*「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」は「欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医薬品や適応について、医療上の必要性を評価するとともに、公知申請への該当性や、承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認すること等により、製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発促進に資すること」を目的として設置されたものです。

以上