

すべての革新は患者さんのために



Roche ロシュグループ

2019年3月27日

各位

リスジプラムが脊髄性筋萎縮症に対する希少疾病用医薬品に指定

- 筋力低下により衰弱をきたす遺伝性疾患である脊髄性筋萎縮症において、初の経口薬となることが期待される
- 現在、第 II/III 相国際共同治験が進行中。2020 年の申請を予定

中外製薬株式会社（本社：東京、代表取締役社長 CEO：小坂 達朗）は、脊髄性筋萎縮症を予定適応症として開発中の経口投与が可能な SMN2 スプライシング修飾剤リスジプラム（開発コード：RG7916）が、厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けたことをお知らせいたします。リスジプラムは全身に分布し、中枢神経系および全身の SMN（survival motor neuron）タンパクレベルを増加させるよう設計された薬剤で、現在、国内で第 II/III 相国際共同治験（FIREFISH、SUNFISH）を実施中です。

上席執行役員 プロジェクト・ライフサイクルマネジメント共同ユニット長の伊東 康は、「脊髄性筋萎縮症は、乳幼児の遺伝性疾患による死亡原因の第一位であり、治療法は限られています」と述べるとともに、「リスジプラムを初の経口薬として脊髄性筋萎縮症の患者さんへお届けできるよう、現在実施中の臨床試験をロシュ社と協力して進めてまいります」と語っています。

【参考情報】

ロシュ社は脊髄性筋萎縮症における risdiplam の新たな成績を世界筋学会にて発表（2018年10月16日発表プレス・リリース）

https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20181016150000_773.html

リスジプラムについて

リスジプラムは、中枢神経系および全身の SMN タンパクレベルを増加させるように創製された、経口投与が可能な臨床開発中の薬剤です。運動神経および筋肉機能をよりよくサポートするために、SMN2 遺伝子から機能性の SMN タンパクの産生が増加するように設計されています。2018年12月には欧州医薬品庁（EMA）より、脊髄性筋萎縮症の治療薬として PRIME（PRiority MEDicines）指定を受けています。欧州、米国およびスイスではオーファンドラッグ指定を受け、また米国食品医薬品局（FDA）よりファストトラック指定を受けています。ロシュ社は、SMA 財団および PTC セラピューティクスとの協力のもと、リスジプラムの臨床開発を行っています。

脊髄性筋萎縮症について

脊髄性筋萎縮症は、遺伝性の神経筋疾患であり、脊髄の運動神経細胞の変性によって筋萎縮や筋力低下を示します¹⁾。乳幼児では最も頻度の高い致死的な遺伝性疾患です²⁾。乳児期から小児期に発症する脊髄性筋萎縮症の患者数は10万人あたり1～2人です³⁾。脊髄性筋萎縮症の原因遺伝子は SMN 遺伝

子で、SMN1 遺伝子の機能不全に加え、SMN2 遺伝子のみでは十分量の機能性の SMN タンパクが産生されないため発症する疾患です⁴⁾。

- 1) Farrar MA and Kiernan MC. The genetics of spinal muscular atrophy: progress and challenges. Neurotherapeutics. 2015;12:290-302.
- 2) Cure SMA. About SMA. 2018. Available from: <http://www.curesma.org/sma/about-sma/>. Accessed March 2019.
- 3) 難病情報センター. Available from: <http://www.nanbyou.or.jp/entry/135>. Accessed March 2019.
- 4) Kolb SJ and Kissel JT. Spinal muscular atrophy. Neurol Clin. 2015;33:831-46.

以上