



2020年2月17日

各位

RG6042 が厚生労働省よりハンチントン病に対する希少疾病用医薬品に指定

- ・ 遺伝性疾患であるハンチントン病に対する初めての疾患修飾薬として、病態の進展抑制が期待される
- ・ 現在、第 III 相国際共同治験が進行中

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、ハンチントン病を予定適応症として開発中の RG6042 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ご知らせいたします。RG6042 は、ハンチントン病の原因遺伝子から産生される変異型ハンチンチンタンパク質（mutant huntingtin protein：mHTT）の産生を抑制させるよう設計された薬剤で、現在、第 III 相国際共同治験（GENERATION HD1）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、「ハンチントン病は指定難病であり、対症療法しかなく、新たな治療薬を必要とするアンメットメディカルニーズの高い遺伝性疾患です」と述べるとともに、「RG6042 を初の疾患修飾薬としてハンチントン病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。

RG6042 について

RG6042（以前の名称：IONIS-HTT_{Rx}）はハンチンチンメッセンジャーリボ核酸（HTT mRNA）を標的とするアンチセンスオリゴヌクレオチドで、ハンチントン病の原因と考えられる mHTT を産生抑制させるよう設計されています。ハンチントン病の疾患修飾薬として現在開発中であり、RG6042 の投与により、ハンチントン病の進行の遅延や抑制が期待されます¹。RG6042 は、2015 年 5 月に欧州、同年 12 月に米国においてハンチントン病の治療薬として希少疾病用医薬品の指定を受けており、2018 年には欧州医薬品庁（EMA）より PRIME（PRiority MEDicines）指定を受けています。

ハンチントン病について

ハンチントン病は、舞踏運動を主体とする不随意運動、精神症状、認知症を伴って発現する遺伝性疾患です²。CAG リpeat配列が伸長した変異型ハンチンチン遺伝子から翻訳される mHTT が蓄積し、毒性を示すと考えられています³。ハンチントン病の根治治療はなく、不随意運動や精神症状に対する対症療法が一般的です。国内の患者数は平成 29 年度特定医療費受給者証所持者数が 900 人おり⁴、有病率は人口 10 万人あたり 0.7 人とされています²。

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）について

医薬品医療機器等法に基づき厚生労働大臣から希少疾病用医薬品として指定を受け、優先的に審査される医薬品です。指定には、当該医薬品の用途に係る対象者数が本邦において 5 万人未満であること、重篤な疾病を対象とするとともに、代替する適切な医薬品または治療法がない、又は、既存の医薬品と比較して

著しく高い有効性または安全性が期待される等、医療上の必要性が高いこと、対象疾病に対して当該医薬品を使用する理論的根拠があるとともに、その開発に係る計画が妥当であると認められることが必要とされています。

出典

1. Sarah J. Tabrizi, et al. Targeting Huntingtin Expression in Patients with Huntington's Disease. N Engl J Med 2019; 380:2307-2316
2. 難病情報センター. Available from: <https://www.nanbyou.or.jp/>. Accessed February 2020
3. Walker FO. Huntington's disease. Lancet 2007;369(9557):218-28
4. 特定医療費（指定難病）受給者証所持者数，対象疾患・都道府県別．厚生労働省衛生行政報告例（平成 29 年度末現在）. Available from: https://www.nanbyou.or.jp/wp-content/uploads/upload_files/koufu20182.pdf. Accessed February 2020

以上