



2020年10月15日

各位

リスジプラム、脊髄性筋萎縮症（SMA）に対する 初の経口薬として国内で製造販売承認申請

- ・ 乳児から成人にわたる I～III 型の SMA に対する 2 本のポジティブな試験成績に基づく申請
- ・ 承認審査は優先審査の対象として実施

中外製薬株式会社（本社：東京、代表取締役会長 CEO：小坂 達朗）は、SMN2 スプライシング修飾剤リスジプラムについて、脊髄性筋萎縮症（SMA：spinal muscular atrophy）に対する製造販売承認申請を、本日、厚生労働省に行いましたのでお知らせいたします。リスジプラムは、2019年3月27日に希少疾病用医薬品の指定を厚生労働省より受けており、優先審査の対象となります。

代表取締役社長 COO の奥田 修は、「リスジプラムは、SMA に対する初の経口薬として、I～III 型の SMA に対する 2 本の臨床試験において、乳児から成人にわたり臨床的に意味のある治療効果を示しました」と述べるとともに、「リスジプラムが示した有効性は、SMA 治療への大きな貢献に繋がるものと考えています。患者さんに 1 日でも早くこの経口薬という新たな治療法をお届けできるよう、承認取得に向け取り組んでまいります」と語っています。

今回の承認申請は、症候性の I 型 SMA の乳児を対象に実施された FIREFISH 試験、ならびに II 型および III 型 SMA の小児および若年成人を対象に実施された SUNFISH 試験の成績に基づいています。SUNFISH 試験は、SMA の小児、10 代および成人を対象とした唯一のプラセボ対照比較試験です。

【参考情報】

・FIREFISH 試験

リスジプラム、1～7カ月の乳児の I 型脊髄性筋萎縮症（SMA）において統計学的に有意な運動マイルストーンおよび生存の改善を示す（2020年5月12日発表プレスリリース）

https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20200512150000_976.html

・SUNFISH 試験

リスジプラム、2～25歳の II 型または III 型脊髄性筋萎縮症（SMA）において統計学的に有意な運動機能の改善を示す（2020年2月7日発表プレスリリース）

https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20200207150002_944.html

ロシュ、リスジプラムにおける SUNFISH 試験の 2 年経過時データ、および乳児、小児、成人の脊髄性筋萎縮症を対象とした JEWELFISH 試験の新たなデータを公表（2020年6月23日発表プレスリリース）

https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20200623163000_991.html

・希少疾病用医薬品の指定

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（2019年3月27日発表プレスリリース）

https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20190327150001_831.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。2020年8月に米国で承認を取得しています。欧州ではオーファンドラッグ指定を受け、2018年12月には欧州医薬品庁（EMA）より、SMAの治療薬としてPRIME（PRIority MEdicines）指定を受けています。日本では2019年3月に希少疾病用医薬品指定を受けています。

脊髄性筋萎縮症（SMA）について

SMA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SMAの患者数は10万人あたり1～2人です³。SMA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。

出典：

- 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 October 2020.
- 3 難病情報センター. Available from: <https://www.nanbyou.or.jp/>. Accessed October 2020.
- 4 Kolb SJ and Kissel JT. Spinal muscular atrophy. *Neurol Clin*. 2015; 33:831-46.

以上