

報道関係各位

2019年9月24日
マイラン EPD 合同会社

シスチン症治療用点眼剤「A0003」 第Ⅲ相臨床試験治験届提出のお知らせ

マイラン EPD 合同会社（本社：東京都港区、社長：本田明彦、以下「マイラン EPD」）はこのほど、シスチン症治療用点眼剤「A0003」（開発コード、以下「本剤」）について、第Ⅲ相臨床試験の治験届を独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」）に提出しましたので、お知らせします。

本剤は、希少疾病領域の新薬候補点眼剤で、健康成人を対象とした国内第Ⅰ相臨床試験において良好な忍容性を確認しました。この結果を受けてマイラン EPD は、本剤のシスチン症における羞明（しゅうめい）に対する有効性と安全性を検証する国内第Ⅲ相臨床試験の治験届を、2019年8月に PMDA へ提出しました。2020年初旬に、第Ⅲ相臨床試験を開始する予定です。

シスチン症は、ライソゾーム病の一種で、希少疾病に分類されます。欧米での発症率は一般に、10万～20万人に1人とされていますが、日本で特定されている患者数は14名です。

腎性シスチン症については、「ニシスタゴン[®]カプセル」（以下「ニシスタゴン[®]」）の有効性が確認されていますが、眼症状の一つである羞明に対しては、国内で有効な治療選択肢がありません。こうした状況を受けて、日本先天代謝異常学会は厚生労働省に対し、羞明の治療薬の国内開発要望書を提出していました。

本治験の治験調整医師の横浜市立大学医学部小児科の伊藤秀一教授は、「進行性の羞明と視力障害に苦しむシスチン症患者に対する有効な治療選択肢の提供が、現場の長年の課題だった。シスチン症患者の QOL の改善に不可欠な薬剤の開発が前進したことは、大変意義深い」とコメントしています。

マイラン EPD は、ニシスタゴン[®]の販売を通じて、シスチン症患者の治療に貢献してきました。本剤の開発を推進し、今後もシスチン症患者の QOL 向上に貢献できるよう、尽力して参ります。

<参考>

【シスチン症について】

シスチン症 (cystinosis) は常染色体劣性遺伝性疾患で、シスチノシンと呼ばれるライソゾーム膜上のトランスポーターをコードする遺伝子 CTNS の変異に起因します。甲状腺機能低下や羞明 (しゅうめい)、慢性腎不全、嚥下障害、糖尿病、腎性ファンコニーなど症状は多岐にわたり、無治療の場合は 10 歳前後で腎死にいたる重篤な疾患です。

【羞明 (しゅうめい) について】

羞明とは、光が眼に入ったときに強いまぶしさや不快を感じる症状です。日中の外出や車の運転が制限され、QOL を著しく低下させる一因となっています。

【A0003 について】

A0003 は、マイラン EPD が 2017 年に、Recordati Rare Diseases (本社：フランス・ピュトー、社長：アンドレア レコルダティ) から導入した、希少疾病領域の新薬候補点眼剤です。

シスチン症 (cystinosis) では、シスチン輸送を担うシスチノシン遺伝子の変異によってライソゾーム内にシスチンが蓄積し、各種臓器障害が生じます。A0003 は、ライソゾームに蓄積するシスチンと反応し、システイン-システアミン混合ジスルフィド及びシステインを生成し (ジスルフィド交換反応)、細胞内のシスチン濃度を低下させます。

【第Ⅲ相臨床試験について】

第Ⅲ相臨床試験 (P0006 試験) では、「A0003」を 52 週間反復点眼投与し、有効性および安全性を評価します。対象は日本人シスチン症患者 14 例 (目標被験者数)。国内 3 施設で実施します。

【Recordati Rare Diseases について】

Recordati Rare Diseases 社は、1990 年の創立以来、希少難病の患者様に BEST の治療を提供するため、日々、研究開発ならびに、早期の商品化を目指しています。Recordati Rare Diseases 社が開発した数々の難病治療薬はすでにヨーロッパ、中東、米国、カナダ、ロシア、日本、オーストラリア、ラテンアメリカをはじめ、多くの国々で販売されております。

【マイラン製薬株式会社およびマイラン EPD 合同会社について】

マイラン製薬株式会社およびマイラン EPD 合同会社は、グローバル医薬品企業マイランの日本法人です。マイラン製薬株式会社はジェネリック医薬品のリーディングカンパニーとして、マイラン EPD 合同会社は消化器系、呼吸器系、感染症領域、ウイメンズヘルスの領域を中心に事業を展開しています。詳しくはホームページをご覧ください。 www.mylan.co.jp

マイランは、グローバル医薬品企業として 70 億の人々に高品質な医薬品をお届けするというミッションのもと、ヘルスケア分野で新しいスタンダードを確立することに取り組んでいます。7,500 以上の製品ポートフォリオを有し、抗レトロウイルス医薬品は世界中で HIV/AIDS 患者さんの約 40%に使用されています。165 以上の国と地域で製品を販売し、世界有数の原薬製造会社でもあります。世界中で 35,000 人以上の社員が「健康でより良い世界を創る」ために尽力しています。

【報道関係からのお問い合わせ先】

マイラン EPD 合同会社 コーポレートアフェアーズ

TEL : 03-5733-9570 FAX : 03-5733-9899