

NEWS RELEASE



2023 年 8 月 28 日
日本新薬株式会社
広 報 部

各 位

当社開発品 NS-401 の希少疾病用医薬品指定に関するお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、代表取締役社長：中井 亨、以下「当社」）は、芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍（以下「BPDCN」）を期待適応症として国内で開発を進めているNS-401（Tagraxofusp：以下「本剤」）について、8月23日付で厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けましたので、お知らせします。当社は、本剤について2021年3月16日にメナリーニ・グループ（本社：イタリア・フィレンツェ、最高経営責任者：エルシン・バーカー・エルガン）と日本における開発・販売に関する独占的ライセンス契約を締結しています。

希少疾病用医薬品とは、国内での対象患者数が 5 万人未満で、かつ医療上特にその必要性が高いこと等が審議され、厚生労働大臣が指定する医薬品です。希少疾病用医薬品の指定により、製造販売承認に要する期間が数カ月短縮されることが期待できます。

BPDCNは白血病とリンパ腫の両方の性質を有し、特徴的な皮膚病変とがん細胞のリンパ節や骨髄への浸潤を伴う、まれな進行性の血液がんです。国内では承認された治療薬はなく、リンパ腫や急性白血病に準じた治療が行われていますが、一般的に生存期間中央値は1年未満と短いことから¹⁻²⁾、新たな治療剤が望まれている疾患です。

本剤は、CD123という細胞表面タンパク質を標的とする画期的な治療薬であり、CD123を発現するがん細胞に対して特異的にタンパク質合成を阻害し、アポトーシスを誘導することにより、がん細胞を死滅させます。米国では成人および2歳以上のBPDCNに対して、欧州では成人の初発BPDCNに対して承認されています。国内においては、現在、当社がBPDCNの患者さんを対象とした第Ⅰ/Ⅱ相試験を実施中です。

当社は、本剤を国内におけるBPDCNの患者さんに一日も早くお届けできるよう、今後も一層の努力を続けてまいります。

出典

1. Pagano L et al, Blastic plasmacytoid dendritic cell neoplasm with leukemic presentation: an Italian multicenter study. Haematologica 2013; 98: 239-246.
2. Lourdes Martín-Martín et al, Classification and clinical behavior of blastic plasmacytoid dendritic cell neoplasms according to their maturation-associated immunophenotypic profile. Oncotarget 2015; 6: 19204-19216.

CD123 について

生体内物質の一つであるインターロイキン-3（IL-3）の受容体で、造血細胞の増殖と分化に関与する細胞表面タンパク質です。正常な造血細胞ではCD123の発現が全くないもしくは、わずかにある程度ですが、患者さんのBPDCNのほとんどの細胞にCD123が過剰発現しています。

日本新薬について

日本新薬は、経営理念「人々の健康と豊かな生活創りに貢献する」のもと、病気でお困りの患者さんご家族にとって必要となる特長あるくすり創りを通して、社会から信頼される企業を目指しています。当社が取り扱っている製品等、詳細な情報については<https://www.nippon-shinyaku.co.jp/>をご覧ください。

メナリーニ・グループについて

メナリーニ・グループは、売上高44億ドル超、従業員数17,000人超の国際的な医薬品・診断薬の企業です。アンメットニーズの高い治療領域に重点を置き、がん、循環器、肺炎、消化器などにおける製品を提供しています。18の生産拠点と9の研究開発センターを擁し、製品は世界140カ国で販売されています。詳細はwww.menarini.comをご覧ください。

以上