

2011年7月15日

各 位

遺伝子組換えヒトDNA分解酵素製剤 「プルモザイム[®]」の製造販売承認申請について

中外製薬株式会社〔本社：東京都中央区／社長：永山 治〕（以下、中外製薬）は本日、遺伝子組換えヒトデオキシリボ核酸（DNA）分解酵素製剤「プルモザイム[®]」（有効成分：ドルナーゼ アルファ（遺伝子組換え）、海外販売名：「Pulmozyme[®]」、販売会社：F. ホフマン・ラ・ロシュ、ジェネンテック）について、「嚢胞性線維症における肺機能の改善」を予定効能・効果として製造販売承認の申請を厚生労働省に行いましたのでお知らせします。

ドルナーゼ アルファ（遺伝子組換え）は、本年4月18日に開催されました「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議^{*}」において、既存データを用いての申請が妥当と評価されました。海外の臨床試験においては既に、プラセボを対照として嚢胞性線維症の患者さんに対して、本剤吸入による肺機能の改善および重症気道感染症に罹患するリスクを減らすことが確認されています。なお、本開発品は当該効能・効果において希少疾病用医薬品に指定されました。

嚢胞性線維症は、欧米では出生児約 2,500 人当たり一人の発症頻度を示す発症率が高い遺伝性疾患ですが、日本人では約 174 万人に一人と推定され、極めて稀な疾患です。厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業「難治性膝疾患に関する調査研究班」が 2009 年に実施した全国疫学調査の結果では、国内での 2009 年単年中の推定患者数は 15 名と報告されています。嚢胞性線維症の原因は生体内の CFTR（塩素イオンチャネル）の遺伝子異常ですが、治療法は確立しておらず、呼吸器症状に対する去痰剤や気管支拡張剤の投与、感染症に対する吸入および全身性抗菌剤の投与など、対症療法となっているのが現状です。

本剤は、嚢胞性線維症の患者さんの粘液・痰中に大量に含まれ粘稠性を高くしている好中球由来の DNA を分解し、喀痰として排出を容易にすることにより、肺機能を改善し、重症の気道感染症に罹患する頻度を減らすために使用されます。海外では、欧米をはじめとする約 70 カ国で承認され、標準治療のひとつとして位置付けられており、年間約 5 万人の患者さんのもとへ提供されています。

中外製薬は、本邦においてもこの極めて稀で難治性の疾患である嚢胞性線維症の患者さんへ、より適切に呼吸器症状をコントロールすることを可能にする、新たな治療選択肢として「プルモザイム[®]」を提供できるよう、早期承認に向けて取り組んで参ります。

* 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」は「欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医薬品や適応について、医療上の必要性を評価するとともに、公知申請への該当性や、承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認すること等により、製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発促進に資すること」を目的として設置されたものです。

以上