



2016年3月17日

各位

## トシリズマブが全身性強皮症の希少疾病用医薬品の指定を取得

中外製薬株式会社〔本社：東京都中央区／代表取締役会長 最高経営責任者：永山 治〕（以下、中外製薬）は、厚生労働大臣より全身性強皮症を対象に開発中のヒト化抗ヒト IL-6 レセプターモノクローナル抗体「トシリズマブ」が、希少疾病用医薬品の指定を受け、本日、通知を受領しましたのでお知らせいたします。

中外製薬取締役専務執行役員の田中 裕は、「全身性強皮症は難治性の慢性疾患で、限られた治療法しかないことから、アンメットメディカルニーズが高く、医療関係者や患者さんが新たな治療選択肢を切望されています」と述べるとともに、「この難病に立ち向かわれている患者さんのために、トシリズマブを早期に承認申請できるよう引き続き尽力してまいります」と語っています。

全身性強皮症は、皮膚が固くなる変化を代表的な症状とする疾患で、進行に伴い臓器障害を合併する厚生労働省指定の難病です。発症の原因が未だ十分に解明されていない疾病で、現在は副腎皮質ステロイド剤や免疫抑制剤による対症療法が行われていますが、臨床症状全体を改善する治療法は確立しておらず、より有効な治療法が求められています。

トシリズマブの全身性強皮症に対する開発は、戦略的アライアンスを提携しているロシュ社と共同で、現在、プラセボを比較対照とした第 III 相臨床試験「focuSSced 試験」が進行中です。また、2015年2月には、先に実施された第 II 相臨床試験「faSScinatate 試験」の結果において、トシリズマブの効果が既存薬を上回る可能性が示唆されたことを受け、米国食品医薬品局 (FDA) より画期的治療薬 (Breakthrough Therapy) として指定されています。

### 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医薬品として指定を受け、優先的に審査される医薬品。指定には、当該医薬品の用途に係る対象者数が 5 万人未満であること、代替する適切な医薬品または治療法がないこと、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の医療上特に優れた使用価値を有すること、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る。

以上