



平成 22 年 6 月 4 日

各 位

会 社 名 株式会社 L T T バイオファーマ
代 表 者 名 代表取締役社長 鈴木 巖
(コード番号 4 5 6 6 東証マザーズ)
問 合 せ 先 取締役研究開発本部長 新居 泰
(T E L 0 3 - 5 7 3 3 - 7 3 9 1)

「ミジスマーゼ（遺伝子組換え）」の希少疾病用医薬品指定了承に関するお知らせ

この度、薬事・食品衛生審議会医薬品第一部会より、当社にて開発中の「PC-SOD：一般名 ミジスマーゼ（遺伝子組換え）」を希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）指定することが了承されましたのでお知らせいたします。

記

1. 指定了承が発表された年月日

平成 22 年 6 月 3 日

2. 指定了承に至った経緯

オーファンドラッグは、医療上の必要性が高いにもかかわらず、難病など対象とする患者数が少ないとされる医薬品のうち、当局の定める基準を満たすものに対して研究開発を促進するために創設された制度です。

当社が開発を進めている「PC-SOD：一般名 ミジスマーゼ（遺伝子組換え）」の対象疾患である「特発性肺線維症」は、難病として分類される疾病であり、従前よりオーファンドラッグとして指定を受けるべく申請を行っていたものです。オーファンドラッグに指定された場合、優先的な治験相談及び優先審査の実施、再審査期間の延長、国庫補助金を原資とした助成金の交付等の優遇措置を受けられますが、そのための条件として当局の定める基準を全て満たしている必要があります。

当社は、今後とも難病に苦しんでおられる患者様に一日も早く治療薬をお届けするため、研究開発に尽力し、「画期的な新薬・医療技術の開発で人類の健康と福祉に貢献する」とした当社の経営理念を実践すべく、PC-SOD の医薬品申請を目指して邁進して参ります。

3. 今後の日程

事務手続き等の完了に伴い、希少疾病用医薬品として指定される予定です。

4. 今後の見通し

現時点で当期の業績見通しに変更はございません。今後、業績への影響が判明した際には、速やかに開示して参ります。

(ご参考)

1. 「PC-SOD：ミジスマーゼ（遺伝子組換え）」について

ミジスマーゼ（遺伝子組換え）は PC-SOD の一般名です。発明者であり、当社の創業者である故・水島裕氏に因んで一般名を定め 2009 年 3 月に登録されています。

<http://www.ltt.co.jp/news/pdf/20090324-1800-715.pdf>

PC-SOD は、多くの疾患の原因となっている活性酸素を除去する SOD の細胞親和性と血中安定性を高めた DDS 製剤であり、既に注射剤の研究において日本で特発性間質性肺炎および潰瘍性大腸炎を対象疾患とした第 II 相臨床試験が終了しております。

現在、独立行政法人新エネルギー・産業技術総合開発機構（NEDO）の助成のもと、特発性間質性肺炎の中でも最も頻度の高い病態のひとつである特発性肺線維症を対象疾患とした吸入投与の研究開発を、創薬事業におけるメインテーマとして取り組んでおります。

また、PC-SOD は炎症の原因となる活性酸素を除去するメカニズムから、今後様々な適応症の拡大と高い市場性が期待される製剤です。

2. 希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）の指定基準等について

オーファンドラッグとして厚生労働大臣から指定を受けるためには、次の基準をすべて満たしていることが必要です。

- 1) 我が国において、患者数 5 万人未満であること。
- 2) 医療上、特にその必要性が高いこと（代替する適切な医薬品等、又は、治療方法がない、或いは、既存の医薬品と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されること）。
- 3) 開発の可能性が高いこと（その医薬品を使用する理論的根拠があり、開発計画が妥当であると認められること）。

なお、新医薬品は、発売後に再審査期間と呼ばれる有効性・安全性についての確認期間が義務付けられております。通常の新医薬品が 8 年間であるのに対し、オーファンドラッグは最長 10 年間に延長されます。当該期間及び特許期間が終了するまでは、後発医薬品（ジェネリック医薬品）は発売できないものとされております。

以 上