

各 位



2015年9月18日

会社名 J C R ファーマ株式会社  
代表者名 代表取締役会長兼社長 芦田 信  
(東証1部 コード番号4552)  
問合せ先 経営戦略部長 本多 裕  
(TEL 0797-32-8591)

「テムセル®HS注」―日本初の他家由来 再生医療等製品―  
製造販売承認取得のお知らせ

当社は、本日、ヒト間葉系幹細胞 (MSC) を利用した再生医療等製品「テムセル®HS注」(開発番号:JR-031) について、「造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病 (急性GVHD)」を適応症として、厚生労働省より製造販売承認を取得しましたのでお知らせいたします。

テムセル®HS注は、当社が2003年に米国オサイリス社 (Osiris Therapeutics, Inc.) ※1から技術導入し、日本国内において造血幹細胞移植後に発症する重篤な合併症である急性GVHDの治療製品として開発を進めてきたものです。今回、初めての再生医療等製品として、従来の新薬と同様に通常の承認を取得できましたことは、申請時の資料で有効性と安全性を示すことができていると当局に認めて頂いたものと考えております。

日本初の他家由来の再生医療等製品となる本製品は、健康な成人から採取した骨髓液から分離し、拡大培養したMSCを静脈内に投与し、その細胞自体が有する能力を利用して疾病を治療するという画期的な製品です。また、他家細胞であるにもかかわらずMSC自体の免疫原性が弱いため、通常の医薬品と同様に、組織型等を合わせる事なく、必要とされる患者様に広く投与できるという利点があり、急性GVHDの治療における新たな選択肢となることが期待されています。

本製品については、品質保持のため超低温下での流通が必要であるため、株式会社メディパルホールディングスと共同で液体窒素を用いた超低温輸送システムを開発いたしました。この輸送システムによって緊急時にも速やかに臨床現場に安定した品質の製品をお届けできる体制を構築しております。

当社は今後も希少疾病治療薬の開発に取り組むスペシャリティファーマとして、より多くの患者様の治療に貢献できるように取り組んでまいります。

なお、現時点で本製品の保険償還価格が決まっていないため、今期の業績に与える影響は未定です。

※1

2013年オサイリス社がMSCに関する権利を豪州メソブラスト社 (Mesoblast Limited) に譲渡したことに伴い、当社が

保有する権利のライセンサーも同社に変更されています。

#### <テムセルHS注について>

- ・ 商品名 : テムセル® HS注
- ・ 一般名 : ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞
- ・ 効能・効果 : 造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病
- ・ 用法・用量 : 通常、体重1 kg当たりヒト間葉系幹細胞として1回 $2 \times 10^6$ 個を、1バッグ当たり生理食塩液18mLで希釈して、4mL/分を目安に緩徐に点滴静注する。1週間に2回、投与間隔は3日以上とし、4週間投与する。なお、症状の程度に応じて、さらに1週間に1回、4週間投与することができる。

以上

#### 【語句の説明】

##### 造血幹細胞移植

血液を造るもとになる細胞（造血幹細胞）を移植する治療法。

白血病などの根治的な治療手段として実施されており、造血幹細胞のソースにより、骨髄移植、末梢血移植、臍帯血移植などの種類がある。

##### 急性移植片対宿主病（急性GVHD）

造血幹細胞移植後の予後を左右する移植関連合併症の一つで、移植された造血幹細胞に含まれる免疫担当細胞（リンパ球など）が、患者様の身体を異物とみなして攻撃する疾患。

##### 他家

再生医療等製品に利用する細胞や組織について、患者様自身のものを用いる場合を、自家（由来）、他の人の細胞や組織を用いる場合を、他家（由来）と分類する。移植などの際、自家の場合は拒絶される事はないが、他家の場合は拒絶反応が起こる事があるので、組織型を合わせる事が必要となる。