

2018年10月29日

各 位



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 執行役員経営企画本部長 本多 裕
(TEL 0797-32-8591)

ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞「テムセル®HS 注」
表皮水疱症への適応拡大（開発番号：JR-031EB）に向けた開発のお知らせ

当社は、「テムセル®HS 注」〔一般名:ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞〕の適応拡大として、同剤の表皮水疱症に対する開発（開発番号：JR-031EB）を開始しましたのでお知らせいたします。

表皮水疱症は、四肢末梢や大関節部などの部位に、軽微な外力により水疱や潰瘍を生じる遺伝性の重篤な希少疾病であり、現段階で有効な治療法はなく、新しい治療法の開発が望まれていました。

当社は、2016年より大阪大学医学部附属病院において行われました皮下投与による表皮水疱症に対する医師主導治験に、治験製品として「テムセル®HS注」の提供協力を行ってまいりました。

「テムセル®HS注」は、2015年に急性移植片対宿主病（急性GVHD）を適応として承認を取得していますが、本医師主導治験の結果を踏まえて、表皮水疱症への適応拡大に向け2018年度中の製造販売承認申請を目標として準備を進めてまいります。

なお、JR-031EBは、本年10月1日付で厚生労働省より「表皮水疱症における潰瘍」に対する希少疾病用再生医療等製品の指定を受けております。

さらに現在、本疾患の静脈内投与による治療の開発を検討しております。

当社はこれからも、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、より多くの患者の皆さんの治療に貢献できるよう取り組んでまいります。

なお、本件に関する今期当社連結業績への影響は軽微であります。

以 上

【語句の説明】

表皮水疱症

皮膚基底膜領域における接着構造制御蛋白の遺伝子異常により、日常生活の軽微な外力で表皮が基底膜レベルで剥離して全身熱傷様の水疱、潰瘍を形成する疾病。厚生労働省指定難病。現在、治療法は基本的に存在せず、ガーゼやワセリン等での潰瘍部保護程度。

希少疾病用再生医療等製品の指定制度

医療上の必要性は高いが薬を必要とする患者数が少ない病気に対する治療選択として、厚生労働大臣から「希少疾病用再生医療等製品」の指定を受けた品目について、試験研究を促進するための特別な支援措置を講ずるための制度。

指定されることにより、優先的に厚生労働省、医薬品医療機器総合機構、医薬基盤・健康・栄養研究所による指導・助言を受けられ、優先審査の実施、再審査期間の延長、試験研究費への助成金交付、税制措置上の優遇等の支援措置を受けることができる。指定にあたって、次の指定基準を満たす必要がある。

1. わが国における対象患者数が5万人未満であること
2. 特に医療上の必要性が高いこと
3. 開発の可能性が高いこと