



2021年12月22日

各 位

長野県松本市芳野19番48号
キッセイ薬品工業株式会社
(コード番号4547:東証第1部)

脊髄小脳変性症治療薬「ロバチレリン(KPS-0373)」の 国内製造販売承認申請のお知らせ

キッセイ薬品工業株式会社(本社:長野県松本市、代表取締役会長兼最高経営責任者:神澤陸雄)は、このたび、脊髄小脳変性症治療薬「ロバチレリン」(一般名、開発番号:KPS-0373)の日本国内における製造販売承認申請を行いましたので、お知らせいたします。

ロバチレリンは、塩野義製薬株式会社(本社:大阪府大阪市、代表取締役社長:手代木功)が創製し、当社が同社より国内における開発・販売権を取得し、脊髄小脳変性症治療薬として開発した薬剤です。当社は、これまで2つの第Ⅲ相臨床試験を実施しましたが、安全性については忍容性が確認されたものの、いずれの試験においても、主要評価項目である運動失調を評価するためのSARA合計スコアの変化量は、プラセボ群と比べて統計学的に有意な改善を認めませんでした。一方、2つめの第Ⅲ相臨床試験の組み入れ基準に合致する患者さん(より重症度が高い患者層)を対象とした併合解析(事後解析)を行った結果、SARA合計スコア変化量は、プラセボ群と比べて統計学的に有意な改善を認めました*。

※: J Neurol Neurosurg Psychiatry 2020;91:254-262. doi:10.1136/jnnp-2019-322168

脊髄小脳変性症は、小脳または脊髄が変性することにより運動失調等の症状が現れる原因不明の神経変性疾患の総称で、厚生労働省の定める指定難病です。不可逆的な神経障害が徐々に進行しますが、現在の治療法は諸症状に対する対症療法に留まり、治療満足度、薬剤貢献度は非常に低い状況にあります。当社は、ロバチレリンは、これまでに実施した2つの臨床試験ならびに併合解析の結果から、国際的に用いられているSARAスコアにより、脊髄小脳変性症における運動失調に対して初めて改善効果が検証された薬剤であると判断し、製造販売承認申請を行いました。

当社は、新薬を待ち望んでおられる脊髄小脳変性症患者さんに新たな治療薬を提供できるよう、ロバチレリンの承認取得に向けて全力で取り組んでまいります。

なお、本申請に伴いマイルストーン支払いが発生しますが、2021年11月9日に公表しました2022年3月期通期の連結業績予想に織り込み済みです。

以上

《 お問い合わせ先 》
広 報 部
TEL: 0263-25-9523

《ご参考》

ロバチレリン(開発番号:KPS-0373)について

塩野義製薬株式会社が創製した甲状腺刺激ホルモン放出ホルモン(TRH)誘導体です。中枢神経系に分布するTRH受容体に結合して、ドパミンなどのモノアミンやアセチルコリンなどの神経伝達物質の遊離を促進することで、神経系を活性化させる作用を有しており、脊髄小脳変性症患者さんの運動失調の改善が期待されています。

当社が実施した2つの第Ⅲ相臨床試験では、いずれの試験においても、主要評価項目については、プラセボ群と比べて統計学的に有意な改善を認めませんでした。しかし、この2つの第Ⅲ相臨床試験について、追加第Ⅲ相臨床試験の組み入れ基準に合致する患者さん(より重症度が高い患者層)を対象とした併合解析(事後解析)を行ったところ、SARA合計スコア変化量は、プラセボ群と比べて統計学的に有意な改善を認め(プラセボ群:1.03点改善、ロバチレリン2.4mg投与群:1.64点改善)、また、安全性については、ロバチレリン投与群で高頻度(5%以上)に認められた有害事象は、上咽頭炎、悪心、体重減少、挫傷であり、その多くは軽度と判定されました。これらの臨床試験の結果は、2020年1月に医学雑誌「Journal of Neurology, Neurosurgery, and Psychiatry」に掲載*されています。

※ : Nishizawa M, Onodera O, Hirakawa A on behalf of the Rovatirelin Study Group, et al.

Effect of rovatirelin in patients with cerebellar ataxia: two randomised double-blind placebo-controlled phase 3 trials.

J Neurol Neurosurg Psychiatry 2020;91:254–262. doi:10.1136/jnnp-2019-322168

URL : <https://jnnp.bmj.com/content/early/2020/01/21/jnnp-2019-322168>

脊髄小脳変性症について

脊髄小脳変性症とは、小脳または脊髄などの神経細胞が徐々に脱落し、運動失調症状をきたす神経変性疾患の総称です。厚生労働省の定める指定難病であり、国内で3万人以上の患者さんが認定されています。近年の基礎研究によりその病因が解明されつつあるものの未だ不明な点が多く、根本的な治療法はないことから、諸症状に対する対症療法が行われているのが現状です。公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団及び日本神経治療学会の協働で実施された「神経疾患に関する医療ニーズ調査」では、脊髄小脳変性症に対する治療満足度及び薬剤貢献度はいずれも低く、現在有効な治療法がない等の理由から「新規治療法の開発が急務な疾患」として報告されています。

SARA(Scale for the assessment and rating of ataxia)について

脊髄小脳変性症等における運動失調の半定量的な評価方法で、8つの評価項目(歩行、立位、坐位、言語障害、指追いつ験、鼻指試験、手の回内回外運動、踵すね試験)から構成され、国際的に使用されています。8つの評価点を合計し40点満点で、無症状が0点、最重症が40点と評価されます。

また、SARA合計スコアが15点を超えると介助が必要になり始めると考えられています。