



2023年3月28日

各 位

会社名 アンジェス株式会社
代表者名 代表取締役社長 山田 英
(コード：4563 東証グロース)
問合せ先 広報・IR グループ
<https://www.anges.co.jp/contact/>

早老症（HGPS 及び PL）治療薬 lonafarnib（米国販売名：Zokinvy）の 希少疾病医薬品指定に関するお知らせ

当社が早期の承認申請に向けて準備を進めておりますハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）及びプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー（PL）の治療薬である lonafarnib（米国販売名：Zokinvy）が、厚生労働省により希少疾病医薬品（オーファン・ドラッグ）に指定されましたので、お知らせいたします。

1. Zokinvy について

Zokinvy は、米国の Eiger BioPharmaceuticals Inc が販売する HGPS 及びプロセシング不全の PL の治療薬として、2020 年 11 月に米国で承認されました。当社は、2022 年 5 月に日本国内における独占的販売契約を同社と提携いたしました。

Zokinvy は、HGPS やプロセシング不全の PL の患者において、核膜と強固な結合を形成するファルネシル化した変異タンパク質（細胞の不安定化と早期老化を惹起）の蓄積を阻害します。

Zokinvy は、小児及び若年成人の HGPS の患者において、死亡率を 60% 減少させ ($p=0.006$)、平均生存期間を 2.5 年延長 ($p=0.005$) させることができました。最も多く報告された副作用は消化器系（嘔吐、下痢、悪心）で、そのほとんどが軽度または中等度（グレード 1 または 2）でした。Zokinvy で治療された HGPS 及びプロセシング不全性の PL 患者の多くは、10 年以上にわたって Zokinvy での治療を継続しています。

2. 希少疾病医薬品とは

厚生労働省は、日本の対象患者数が 50,000 人未満であり、重篤な疾病の治療手段として特に医療上の必要性が高いことなどを条件に、希少疾病用医薬品を指定します。

希少疾病用医薬品の指定を取得すると、優先審査のほか、指定の適応症に対して承認を取得した場合には 10 年間の再審査期間が認められるなどのメリットや支援措置を受けることができます。

3. 今後の見通し

今回の希少疾病医薬品の指定にあたり、特段の費用は発生いたしません。今後、開示すべき事象が発生した場合には速やかに公表する予定です。

以 上