

2023年5月24日



各位

会社名 株式会社 ステムリム
代表者名 代表取締役会長 CEO 富田 憲介
(コード番号:4599 東証グロース)
問合せ先 経営管理部 植松 周平
(電話番号:072-648-7152)

再生誘導医薬[®]レダセムチド(HMGB1 ペプチド)の 希少疾病用医薬品の指定に関するお知らせ

当社から塩野義製薬株式会社(本社:大阪市中央区、代表取締役会長兼社長:手代木 功、以下「塩野義製薬」)へ導出済みの再生誘導医薬[®]開発品、レダセムチド(HMGB1¹⁾より創製したペプチド医薬、開発コード:S-005151)について、この度、栄養障害型表皮水疱症を対象とした希少疾病用医薬品²⁾の指定を厚生労働省から受けた旨の連絡がありましたので、お知らせいたします。

希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品の指定制度は、希少疾病用医薬品等の試験研究を促進するための支援措置で、下記の指定基準にのっとり、薬事・食品衛生審議会の諮問を受け、厚生労働省が指定を行います。

- ① 当該医薬品等の用途に係る対象者の数が、本邦において5万人未満であること
- ② 重篤な疾病を対象とするとともに、代替する適切な医薬品・医療機器・再生医療等製品または治療法がないこと、もしくは既存の医薬品・医療機器・再生医療等製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 対象疾病に関して当該医薬品等を使用する理論的根拠があるとともに、その開発に係る計画が妥当であると認められること

今般、レダセムチドが希少疾病用医薬品の指定を受けたことは、レダセムチドが表皮水疱症に対して有効である可能性及び現在の開発計画の妥当性について、厚生労働省から一定の評価を受けたこととなります。

また、希少疾病用医薬品の指定を受けたことにより、塩野義製薬は以下の支援措置を享受することが可能になります。

- ① 助成金の交付:希少疾病用医薬品の開発にかかる経費の負担を軽減するため、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所を通じて助成金の交付を受けることができます。
- ② 指導・助言:希少疾病用医薬品の試験研究について医薬品医療機器総合機構(PMDA)等による指導・助言を受けることができます。また、希少疾病用医薬品に対する優先対面助言制度もあります。更に、通常品目に比べて治験相談の手数料が減額されます。
- ③ 税制措置:医薬基盤・健康・栄養研究所からの助成金の交付対象期間に行う試験研究に係る費用のうち、希少疾病用医薬品に係る試験研究費総額の20%を税額控除として算定できます。
- ④ 優先審査:希少疾病用医薬品に指定されたものについては、できるかぎり早く医療の現場に提供

できるよう、他の医薬品に優先して承認審査がなされます。また、希少疾病用医薬品に指定された場合は、通常品目に比べて承認審査に係る手数料が減額されます。

- ⑤ 再審査期間の延長: 希少疾病用医薬品に指定され、承認された医薬品は、再審査期間が最長 10 年間に延長されます。再審査期間中は新医薬品以外の申請は認められませんので、当該期間中は特許の存続期間を過ぎても、独占的な販売が実質的に可能となります。

優先審査制度は新薬の承認審査において、一定の基準を満たす医薬品の審査を優先的に実施する制度であり、日本では1993年に薬事法(現在の薬機法)が一部改訂されてこの制度が導入されました。日本における医薬品の優先審査は、重篤な疾患に対して医療上の有用性が高いと認められた新薬等と与えられるものです。優先審査の対象になることによって、審査期間の短縮による早期の承認取得、販売開始が期待されます。

なお、本件は計画通りの進捗であり、2023年7月期通期業績に与える影響はありません。

以 上

- 1) HMGB1(High Mobility Group Box 1): 体内の間葉系幹細胞を患部に誘導する細胞の核内タンパク質の1つ
- 2) 希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品の指定制度の概要(厚生労働省)

<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>

※「再生誘導」、「再生誘導医薬」、「再生誘導医学」、「再生誘導医療」はステムリムの登録商標です。