

2018年7月27日

各位

**赤芽球性プロトポルフィリン症治療をめざす MT-7117 が
FDA（米国食品医薬品局）からファストトラック指定を受け
第2相臨床試験を開始**

田辺三菱製薬株式会社（本社：大阪市中央区、代表取締役社長：三津家正之、以下「田辺三菱製薬」）は、赤芽球性プロトポルフィリン症を対象として開発を進めている MT-7117 について、FDA（米国食品医薬品局）よりファストトラックに指定され、第2相臨床試験を開始しましたのでお知らせします。MT-7117 は、赤芽球性プロトポルフィリン症（EPP¹）患者における光過敏症の予防をめざして、当社の米国における開発子会社であるミツビシ タナベ ファーマ ディベロップメント アメリカ（Mitsubishi Tanabe Pharma Development America, Inc.; MTDA）を中心に第2相臨床試験を進めています。

ファストトラック指定²を受けるためには、FDA の高い要求事項を満足させる必要があります。ファストトラック指定を受けると、FDA との間でコミュニケーションを頻繁に行うことが可能となり、開発に関する課題や疑義などを早期に解決することができ、今後得られる臨床試験結果に応じて、プライオリティ・レビュー（優先審査）につながることを期待されます。

EPP は、フェロケラターゼ（FECH）遺伝子または、まれにδ（デルタ）-アミノレブリン酸合成酵素遺伝子の変異から生じるヘム代謝経路の遺伝的障害であり、アンメットメディカルニーズが存在する重篤な稀少疾患です。EPP は、血液、赤血球や組織へのプロトポルフィリン蓄積と、太陽光を浴びることによって幼児期から発症する露光部の皮膚症状（光過敏症）が特徴的です。光過敏症は EPP の主要な臨床症状であり、皮膚が日光に曝露されることで、刺したり、灼けるような強い痛みを伴った皮膚症状が起こり、曝露時間に応じて紅斑、皮膚浮腫や溢血点（いっけつてん）が生じることもあります。EPP 患者は長波長紫外線と可視光線への曝露を慢性的に避けなければならないため、社会活動が大幅に制限され、QOL に重大な影響を与えます。加えて、EPP 患者の約 3%は肝臓疾患にも進展するという調査結果も示されています。

MTDA では、この度、米国において MT-7117 の第2相臨床試験である「ENDEAVOR（エンデヴァー）」試験を開始しました。ENDEAVOR 試験は、約 100 名の EPP 患者を対象とし、2 週間のスクリーニング期間ののち、16 週間の 2 重盲検下治療期および 6 週間のフォローアップを予定しています。

田辺三菱製薬は、重篤な疾患と闘う世界の患者さんの希望となる医薬品をいち早くお届けできるよう、研究開発活動を進めてまいります。

以上

田辺三菱製薬株式会社 広報部

(お問合せ先) 報道関係者の皆様 TEL : 06-6205-5119
株式市場関係者の皆様 TEL : 06-6205-5110

1. NIH website:

<https://rarediseases.info.nih.gov/diseases/4527/erythropoietic-protoporphyrin>.

2. US Food and Drug Administration. Fast Track Information Page:

<https://www.fda.gov/ForPatients/Approvals/Fast/ucm405399.htm>

Mitsubishi Tanabe Pharma Development America, Inc.

ミツビシ タナベ ファーマ ディベロップメント アメリカ (MTDA)

MTDA はニュージャージー州ジャージー市 (Jersey City, New Jersey) を本社拠点にしています。MTDA は田辺三菱製薬が 100%出資する Mitsubishi Tanabe Pharma Holdings America, Inc. (ミツビシ タナベ ファーマ ホールディングス アメリカ) の子会社です。MTDA は ALS 治療領域では、米国で二十数年ぶりの薬剤となる Radicava (ラジカヴァ) の販売承認を取得した実績があります。今後も患者さんのアンメットメディカルニーズに応える革新的な医薬品の開発を進めてまいります。

<http://mt-pharma-development-america.com/>