

2022年6月29日

会社名 イシンファーマ株式会社

代表者 代表取締役社長 白井 玲

TEL 03-6262-5242

メール info@ishinpharma.co.jp

ISN001 の難治性又は再発性のびらん・潰瘍を有する表皮水疱症に対する 希少疾病用医薬品の指定について

イシンファーマ株式会社（本社：東京都中央区、以下「当社」）は、厚生労働省より「ヒト脂肪組織由来間葉系幹細胞（ALLO-ASC）シート」（ISN001、以下「本製品」）が難治性又は再発性のびらん・潰瘍を有する表皮水疱症治療を対象として希少疾病用医薬品指定（2022年6月20日指定）を受けたことをお知らせいたします。

当社は、難治性又は再発性のびらん・潰瘍を有する表皮水疱症患者さんへ本製品を提供できるよう、国内承認に向けた準備を進めています。

表皮水疱症について

表皮水疱症は、表皮・基底膜間又は基底膜・真皮間を連結する細胞骨格及び接着タンパク質に関連する遺伝子の変異により水疱、びらん又は潰瘍を生じる遺伝性疾患であり、遺伝形式と水疱形成部位によって、単純型、接合部型及び栄養障害型に類別されています。表皮水疱症は「難病の患者に対する医療等に関する法律」（平成26年法律第50号）に基づく指定難病であり、令和元年度の特定医療費（指定難病）受給者証所持者数は302人と報告されています。

ISN001 について

表皮水疱症に対する標準的な治療法は確立されておらず、創傷被覆剤等による対症療法が行われるのみです。表皮水疱症患者自らの皮膚組織から培養製造される「ヒト（自己）表皮由来細胞シート」が2018年12月に、難治性又は再発性のびらん・潰瘍を有する栄養障害型又は接合部型表皮水疱症患者を適応対象として製造販売承認されましたが、原料となる正常様皮膚組織が採取可能な患者に適応が限られる等の課題があります。

本製品は、健康成人ドナー由来の同種脂肪組織由来間葉系幹細胞を含むハイドロゲルシートです。病変部へ貼付することにより、創傷治癒の促進作用やVII型コラーゲンなど患者に遺伝的に欠乏している蛋白質が分泌され、びらんが早く治ることおよび、治った後の皮膚脆弱性が改善することが期待されます。また、本製品は患者からの皮膚組織の採取が不要で、既存治療の課題に対応できる可能性があります。



開発状況

本製品は、栄養障害型表皮水疱症患者を対象に第 I / II 相試験（EB-01 試験）が実施され、安全性には特段の懸念は認められませんでした。

現在、多施設共同非盲検単群第 III 相試験（EB-02 試験）が実施されており、有効性及び安全性が検討されています。

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）について

医薬品医療機器等法に基づき厚生労働大臣から希少疾病用医薬品として指定を受け、優先的に審査される医薬品です。指定には、当該医薬品の用途に係る対象者数が本邦において 5 万人未満であること、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または治療法がない、又は、既存の医薬品と比較して著しく高い有効性または安全性が期待される等、医療上の必要性が高いこと、対象疾病に対して当該医薬品を使用する理論的根拠があるととともに、その開発に係る計画が妥当であると認められることが必要とされています。

以上