

2025年1月6日

報道関係各位

## 【医療関連事業】

## 遺伝性血管性浮腫発作抑制薬「ドニダロールセン」 欧州医薬品庁が申請受理

大塚製薬株式会社(本社:東京都、代表取締役社長:井上眞、以下「大塚製薬」)は、Ionis Pharmaceuticals, Inc. (本社:米国カリフォルニア州、CEO:Brett P. Monia, Ph.D.、以下「アイオニス」)が遺伝性血管性浮腫の発作抑制薬として開発する「ドニダロールセン(INN: donidalorsen、開発コード: ISIS 721744)」について、成人および12歳以上の青年における遺伝性血管性浮腫の再発予防の適応で、大塚製薬が医薬品販売承認申請(MAA)をし、欧州医薬品庁(EMA)に受理されましたので、お知らせします。

遺伝性血管性浮腫(Hereditary angioedema: HAE)は、顔(くちびる、まぶた、舌など)、腹部、手足などの目に見える場所だけでなく、消化管や喉頭など全身のさまざまな部分が繰り返し腫れることを特徴とする常染色体優性の遺伝性疾患です。消化管や喉頭に浮腫が生じれば腹痛や息苦しさが生じ、死に至る可能性があります。5万人に1人といわれるまれな疾患で、人種差はないと考えられており、約75%が家族性といわれています。(参考: HAE診療ガイドライン 改訂2023年版)

ドニダロールセンは、HAE発作につながる経路を遮断し、プレカリクレイン(PKK)の産生を抑制するように設計された、RNAを標的とする薬剤です。フェーズ2試験では、HAE発作の減少効果と良好な安全性および忍容性が確認されました。フェーズ3試験(OASIS-HAE試験およびOASISplus試験)では、オートインジェクターによる自己投与時を含め、月平均HAE発作率の有意かつ持続的な減少など、複数の評価項目においてドニダロールセンが良好な結果を示しました。米国および欧州では希少疾病用医薬品に指定されており、2024年11月、アイオニスは、米国食品医薬品局(FDA)がドニダロールセンの新薬承認申請(NDA)を受理したと発表しました。

大塚製薬は、2023年12月、本剤の欧州における独占的販売権をアイオニスから取得するライセンス契約を締結しました。また、2024年6月には対象エリアに日本を含むアジア地域を追加するライセンス契約を同社と締結しています。大塚製薬は、常染色体優性多発性嚢胞腎(ADPKD)などを対象とした希少疾患治療薬をグローバルに展開しています。RNAを標的とした創薬のリーディングカンパニーであるアイオニスが創製した本剤を、欧州および日本を含むアジア地域のHAE患者さんにお届けすることで、アンメットメディカルニーズに貢献してまいります。