



本資料は、中外製薬と戦略的アライアンスを締結しているエフ・ホフマン・ラ・ロシュ社が12月17日（パベル発）に発表したプレスリリースの一部を和訳・編集し、参考資料として配布するものです。正式言語が英語のため、表現や内容は英文が優先されることをご留意ください。

原文は、<https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2018-12-17.htm> をご覧ください。

2018年12月27日

欧州医薬品庁は risdiplam を脊髄性筋萎縮症（SMA）の 治療薬として PRIME に指定

- ・Risdiplam は、小児で主に診断される稀少で衰弱性の遺伝性疾患である SMA の I、II および III 型に対する治療薬として初めての経口製剤となる可能性があります
- ・欧州医薬品庁の PRIME とは、既存薬を超える重要な治療上のメリット、あるいは治療選択肢のない患者さんへのベネフィットをもたらす可能性のある薬剤に与えられるものです
- ・現在、risdiplam では SMA の全てのタイプを対象とした3つの多施設国際共同試験が行われています

ロシュ社は12月17日、欧州医薬品庁（EMA）が脊髄性筋萎縮症（SMA：spinal muscular atrophy）の治療薬として開発中の経口薬 risdiplam (RG7916) を PRIME (PRiority MEdicines) 指定したことを発表しました。EMA による PRIME 指定は、有望な医薬品に関するデータ創出および開発を支援することを目的とし、規制当局による迅速審査につながることから、その医薬品を患者さんにより早く提供できる可能性があります。Risdiplam は、経口製剤の survival motor neuron (SMN) 2 遺伝子スプライシング修飾薬であり、SMA の I、II および III 型に対して運動機能の改善が示されました。SMA は、多臓器疾患で、SMN タンパク質の欠乏は、中枢神経系以外の多くの組織やその細胞に影響を及ぼす可能性があることを示唆する臨床エビデンスが増えています¹⁾。Risdiplam は全身に分布し、中枢神経系および全身の SMN タンパク質濃度を増加させるよう設計されています²⁾。

【参考情報】

ロシュ社は脊髄性筋萎縮症における risdiplam の新たな成績を世界筋学会にて発表（2018年10月16日発表プレスリリース）

https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20181016150000_773.html

国内から、第 II 相国際共同試験（FIREFISH、SUNFISH）に参加しています。

参考文献

- 1) Kolb SJ and Kissel JT. Spinal muscular atrophy. *Neurol Clin.* 2015; 33: 831-46
- 2) Ratni H et al. Discovery of risdiplam, a selective survival motor neuron-2 (SMN2) gene splicing modifier for the treatment of spinal muscular atrophy (SMA). *J Med Chem.* 2018; 61: 6501-17

以上