



2014年8月8日

## 医療上の必要性の高い未承認薬 ヒドロキシクロロキンの製造販売承認申請について

サノフィ株式会社(本社:東京都新宿区、代表取締役社長:ジェズ・モールディング、以下「サノフィ」)は、全身性エリテマトーデスおよび皮膚エリテマトーデスの治療薬として開発中のヒドロキシクロロキン硫酸塩(以下「ヒドロキシクロロキン」)について、本日、厚生労働省に製造販売承認申請を行いましたのでお知らせします。

全身性エリテマトーデスおよび皮膚エリテマトーデスは、全身性炎症性病変を特徴とする自己免疫疾患です。全身性エリテマトーデスは、難病に指定され現在 6 万人以上が登録されています<sup>1)</sup>。皮膚エリテマトーデスの疾患人口に関する日本での疫学調査はありませんが、全身性エリテマトーデスと同程度の患者数にのぼると言われています。

ヒドロキシクロロキンの開発は 1950 年代に開始され、諸外国では公表された論文のデータなどに基づいて承認されてきました。そのため、現在の医薬品としての許認可に係る規制要件に適合した臨床試験データは、これまで存在しませんでした。本申請にあたってサノフィは世界で初めて、現在の規制条件下でヒドロキシクロロキンの承認申請のための臨床試験を日本で実施しました。本剤について、公表された論文のデータに臨床試験による新しいエビデンスを加え、サノフィは承認申請を行いました。

欧米での治療ガイドラインにおいて、全身性エリテマトーデスおよび皮膚エリテマトーデスに対して、ヒドロキシクロロキンは標準的な治療薬として位置付けられています。しかし、日本においては未承認薬であるため、個人輸入により治療に用いられてきました。こうした背景から、関連学会と連携する研究会の要望に基づいて厚生労働省の「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において評価がなされ、医療上の必要性が高い薬剤として 2010 年 12 月、サノフィが開発要請を受けました。

ヒドロキシクロロキンは 1955 年に米国で承認(国際誕生年)され、現在、日本を除くアジア諸国をはじめ全世界 70 カ国以上で承認されている薬剤です。適応症の詳細は国ごとに異なりますが、主なものはマラリア、全身性エリテマトーデス、円板状エリテマトーデス、光線過敏症、関節リウマチ及び若年性慢性関節炎です。

サノフィは「日本の健康と笑顔に貢献し、最も信頼されるヘルスケアリーダーになる」というビジョンのもと、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の開発推進に積極的に協力し、日本の患者さんや医療関係者へ更なる貢献をしております。

以上

1) 平成 24 年度末現在の厚生労働省の衛生行政報告例から特定疾患医療受給者証所有者数及び特定疾患登録者証所有者数の合計です。



## 全身性エリテマトーデス、皮膚エリテマトーデスについて

エリテマトーデスとは膠原病の 1 つで、皮膚に狼に噛まれたような赤い斑点（紅斑：lupus erythematosus）ができることから名づけられています。

全身性エリテマトーデスは、DNA-抗 DNA 抗体などの免疫複合体の組織沈着により起こる全身性炎症性病変を特徴とする自己免疫疾患です。発熱、全身倦怠感の他、赤い斑点（紅斑）などの皮膚症状、関節炎といった多彩な症状を全身の様々な場所に引き起こします。若年女性に好発し、発症年齢は 20～40 歳代であることが多く、寛解と増悪を繰り返して慢性の経過を取ることが多いとされています。日本での全身性エリテマトーデス患者数は年々増加し、現在 6 万名を超えるとされています<sup>1)</sup>。

皮膚エリテマトーデスとは、エリテマトーデスでの特異的皮膚症状を中心とした皮膚障害を指し、とくに顔面、耳、首の回りなどに高頻度に赤い斑点（紅斑）が現れます。疾患人口に関する日本での疫学調査はありませんが、全身性エリテマトーデスと同程度の患者数にのぼると言われています。

## ヒドロキシクロロキンについて

ヒドロキシクロロキン硫酸塩は、4-アミノキノリン類に属し、主な作用として抗炎症作用、免疫調節作用、抗マalaria作用を有する薬剤です。日本では過去に抗マalaria薬として販売されていたクロロキンと類似した作用機序及び化学構造を持ちます。しかし、組織に対する親和性がクロロキンと比較して弱く、クロロキンの副作用のひとつである網膜障害の発現率も、ヒドロキシクロロキンは 0.1%未満と極めて低いことが報告されています。欧米等ではその豊富な使用経験から、本剤の有効性と忍容性について既に周知されている薬剤です。

## サノフィについて

サノフィ・グループは、フランス・パリに本社を置きグローバル事業を統合的に展開するヘルスケアリーダーです。世界 100 カ国に 11 万人以上の社員を擁するサノフィは、糖尿病治療、ヒト用ワクチン、革新的新薬、コンシューマー・ヘルスケア、新興市場、動物用医薬品、新生ジェンザイムの 7 つを成長基盤として、患者さんのニーズにフォーカスした治療ソリューションの創出・研究開発・販売を行っています。サノフィは、パリ（EURONEXT：SAN）およびニューヨーク（NYSE：SNY）に上場しています。

日本においては、約 2,700 人の社員が、「日本の健康と笑顔に貢献し、最も信頼されるヘルスケアリーダーになる」をビジョンに、医薬品の開発・製造・販売を行っています。

詳細は、<http://www.sanofi.co.jp> をご参照ください。