各　　位

2013年12月16日

会 社 名　日本ケミカルリサーチ株式会社
代表者名　取締役会長兼社長　　芦田　信
（東証１部　コード番号4552）
問合せ先　管理本部　総務部長　三浦　祐一
（ＴＥＬ　0797-32-8591）

細胞性医薬品（開発番号：JR-031）が希少疾病用医薬品に指定

当社は、ヒト間葉系幹細胞（MSC）を利用した細胞性医薬品（開発番号：JR-031）の開発に取り組んでおりますが、このたび、「急性移植片対宿主病」を予定される効能、効果として、厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けましたのでお知らせいたします。

このMSCを利用した細胞性医薬品は、当社が2003年8月より米国オサイリス社[*1]（Osiris Therapeutics, Inc.、http://www.osiris.com/ ）から技術導入しているもので、自社で製造し、日本国内において造血幹細胞移植時に発生する重篤な合併症のひとつである急性移植片対宿主病（急性GVHD）の治療薬として開発を行っております（開発番号：JR-031）。2007年に開始した第I/II相臨床試験において良好な結果が得られた後、2011年8月より第II/III相試験を実施しておりましたが、当初の予定よりも早く目標症例数に到達いたしました。現在、臨床試験データの取りまとめを行っており、日本初の細胞性医薬品として今年度中の製造販売承認申請を目指してまいります。

MSCは免疫原性が弱いため、原料（健康なドナーから採取した骨髄液）から分離、拡大培養して製造したMSCを通常の医薬品と同様に不特定多数の患者様へ投与することが可能です。また、自家細胞治療では、細胞の加工に時間がかかるのに対し、MSC製剤はあらかじめ製造し凍結保存および超低温輸送[*2]が可能ですので、緊急時にすぐに対応可能で、利便性が格段に高く、画期的な製品となる可能性があります。

今後も、希少疾病治療薬の開発に取り組むスペシャリティファーマとして、より多くの患者様の治療に貢献できるように取り組んでまいります。

※1：2013年10月オサイリス社がヒト間葉系幹細胞に関する権利をメゾブラスト社（Mesoblast Ltd.、http://www.mesoblast.com/ ）に譲渡したため、当社の保有する権利のライセンサーも同社に変わっております。

※2：超低温輸送システムについては、株式会社メディパルホールディングスと共同で研究開発を行っており、承認後は同社が全面的に配送を担当することとなっております。

以上

【語句の説明】

間葉系幹細胞

主に骨髄中に存在する未分化な細胞。

骨、軟骨、脂肪、筋肉など様々な細胞に分化する能力を有する。免疫調節機能を有するため、免疫が関与する様々な疾患に有効な可能性がある。

造血幹細胞移植

血液を造るもとになる細胞（造血幹細胞）を移植する治療法。

白血病などの根治的な治療手段として実施されており、造血幹細胞のソースにより、骨髄移植、末梢血移植、臍帯血移植などの種類がある。

急性移植片対宿主病（急性GVHD）

造血幹細胞移植後の予後を左右する移植関連合併症の一つで、移植された造血幹細胞に含まれる免疫担当細胞（リンパ球など）が、患者様の身体を異物とみなして攻撃する疾患。

希少疾病用医薬品の指定制度

医療上の必要性は高いが薬を必要とする患者数が少ない病気に使用する医薬品「希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）」を厚生労働大臣が指定し、希少疾病用医薬品の試験研究を促進するための特別な支援措置を講ずるための制度。

指定されることにより、優先的な治験相談および優先審査の実施、申請手数料の減額、再審査期間の延長、試験研究費への助成金交付、税制措置上の優遇等の支援措置を受けることができる。希少疾病用医薬品に指定されるために、次の指定基準を満たす必要がある。

1. わが国における対象患者数が5万人未満であること
2. 特に医療上の必要性が高いこと
3. 開発の可能性が高いこと