

2012年2月21日

各 位

会 社 名 シミックホールディングス株式会社
代表者名 代表取締役会長兼社長 CEO 中村 和男
(コード番号 2309 東証第一部)
問合せ先 取締役執行役員(情報開示担当)望月 渉
(TEL. 03-5745-7070)

尿素サイクル異常症治療薬として 希少疾病用医薬品「フェニル酪酸ナトリウム」を国内で承認申請

シミックホールディングス株式会社は、2012年2月20日、尿素サイクル異常症治療薬として、「フェニル酪酸ナトリウム(一般名)」(開発コード:CMK-304)の製造販売承認申請を行いました。

フェニル酪酸ナトリウムは、生体内で酸化されグルタミンと結合することにより、余剰アンモニア産生の原因となる残余窒素を減らし、血中アンモニアの上昇を抑制する薬剤です。本剤は、1996年に米国で、1999年に欧州で承認され、海外においては既に尿素サイクル異常症の標準療法となっています。国内の臨床試験においても、良好な有効性・安全性が確認されました。

尿素サイクル異常症は、アンモニアを解毒し尿素を生成する代謝経路(尿素サイクル)に遺伝的な欠損が生じるために発症する先天代謝異常症です。高アンモニア血症により中枢神経障害を呈し死亡に至ることも稀ではない重篤な疾患であり、本邦での推定患者数は約200人、新出生児46,000人に一人が乳幼児期に発症するとされています。従来、日本では承認されていないため患者の方々は欧米から個人輸入し、治療に対応しているのが現状です。

2006年1月に開催された未承認薬使用問題検討会議において「我が国での早期開発が必要な医薬品であると判断する。疾患が重篤な上に症例数が著しく少なく、新たな治験の実施にはかなりの期間がかかることから、欧米での臨床試験データや国内での使用症例に関するデータを利用した早期の承認申請がなされるとともに、承認までの間に国内治験データを収集する等の対応を検討すべきである」との見解が示され、早期の承認申請が望まれていました。

当社は、このような臨床ニーズが高いにもかかわらず何らかの理由により開発が見送られてきた希少疾病用医薬品の開発に着手しながら、今後も製薬企業向けサービスを中心に広く健康を支えるビジネスをさらに展開し、社会への貢献度を高める企業を目指してまいります。

なお、CMK-304は、当社が2010年6月にUcyclyd Pharma Inc.(米国アリゾナ州Scottsdale)から導入し、厚生労働省の未承認薬等開発支援臨時特例交付金による特別対策事業における未承認薬開発支援事業に係る基金ならびに一般社団法人未承認薬等開発支援センターの未承認薬等開発支援センター資金の助成を受けて開発を進めたもので、当社が日本における独占的開発・販売権を有しています。

本件による当期連結業績への影響はありません。

以上

用語説明

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）

薬事法第 77 条の 2 で指定された、対象患者が 5 万人未満の稀な疾病に用いられる医薬品

【シミックホールディングス株式会社】

当社グループは、日本で最初のCRO（医薬品開発受託機関）として、臨床試験の効率化、迅速化に貢献するサービスを提供しています。その豊富な経験を活かし、医薬品の基幹的なプロセスである開発、製造、営業などの業務を総合的に支援する「PVC（ファーマシューティカル・バリュー・クリエイター）」を標榜し、製薬会社の企業価値の最大化に貢献すべく、幅広いサービスを展開しています。詳しくはホームページをご覧ください。 <http://www.cmic-holdings.co.jp/>

【Ucyclyd Pharma Inc.】

ユーサイクリッド社は、皮膚および美容の領域で医療用医薬品を販売するスペシャルティファーマMedicis Pharmaceutical Corporation（米国アリゾナ州 Scottsdale）の完全子会社で、尿素サイクル異常症の標準療法であるBuphenyl®（フェニル酪酸ナトリウム）とAmmonul®（フェニル酪酸ナトリウムと安息香酸ナトリウムの配合剤）の 2 剤を米国で販売しています。詳細は同社のホームページをご覧ください。 <http://ureacycle.com/>