

平成 25 年 3 月 29 日
株式会社レクメド

ホモシスチン尿症治療剤「シスタダン原末（一般名：無水ベタイン）」
製造販売承認申請のお知らせ

株式会社レクメド（本社：東京都町田市、代表取締役社長：松本 正、以下「レクメド」）は、本日、日本で開発を進めていたホモシスチン尿症を適応症とする治療薬「シスタダン原末」（一般名：無水ベタイン、以下「ベタイン」）の国内製造販売承認申請を厚生労働省に致しましたので、お知らせ致します。

ベタインは、先天的な遺伝子の異常によりホモシステイン及びホモシスチンが体内に蓄積し、尿中へ大量に排出される疾患であるホモシスチン尿症の治療剤で、既にフランスの Orphan Europe SARL 等により世界 33 カ国以上で販売（平成 8 年米国承認、平成 19 年欧州承認）されておりますが、日本国内では、その疾患の治療に対して承認されている薬剤がなく、早期に開発が望まれておりました。

このような中、平成 17 年 1 月に厚生労働省により設立された「未承認薬使用問題検討会議」（現：「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」）にて、ベタインは、早期に開発が求められる未承認薬の対象として指定され、レクメドは当該開発会社として承認されました。

Orphan Europe SARL とベタインの日本国内での開発・販売におけるライセンス契約を締結し、日本先天代謝異常学会の先生方の協力のもと、ホモシスチン尿症患者を対象とした第Ⅲ相臨床試験を実施し、この度、第Ⅲ相臨床試験の中間解析結果をまとめ、製造販売承認申請の準備が整いました。

ベタインは、平成 24 年 3 月 19 日に希少疾病用医薬品（24 薬）264 号の指定を受け、平成 24 年度の医薬基盤研究所の希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器試験研究助成を受けると共に、厚生労働省の未承認薬開発支援事業に係る基金および一般財団法人未承認薬等開発支援センターより開発費の助成を受けております。

レクメドは、ベタインが本疾患に苦しむ患者さんへ貢献できるものと期待しております。また、今後も、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進められていない希少疾病用医薬品の開発を積極的に行い、社名の由来“Required Medicine for all who request it”（人々に求められる医薬）のとおり、世界の人々の健康な生活の実現をお手伝いすることを第一の目標としてまいります。