

## 製造販売承認取得のご案内

リンパ脈管筋腫症治療薬

**ラパリムス<sup>®</sup>錠1mg**

Rapalimus<sup>®</sup> Tablets 1mg

(シロリムス錠)

謹啓

平素は弊社並びに弊社製品につきまして格別のご高配を賜り、有難く厚く御礼申し上げます。

さてこの度、弊社は、「リンパ脈管筋腫症」を効能・効果としたリンパ脈管筋腫症治療剤である「ラパリムス錠 1mg」の製造販売承認を取得致しました。

本剤は1錠中にシロリムス 1mg を含有する白色の糖衣錠です。シロリムス（別名ラパマイシン）はイースター島の土壌から分離された放線菌 *Streptomyces hygroscopicus* の代謝産物で、1970 年代にマクロライド系抗生物質として見いだされました。その後、強力な免疫抑制作用を有することから 1999 年に米国を初めとして 2000 年以降、世界 89 カ国において「腎移植における臓器拒絶反応の予防」を効能・効果として販売されています（国内未承認）。

リンパ脈管筋腫症（Lymphangiomyomatosis : LAM）は妊娠可能な女性に好発する希少疾患であり、遺伝子異常を起こした平滑筋様細胞（LAM 細胞）が肺やリンパ節などで増殖し、肺においては組織破壊を引き起こすことで嚢胞が形成される疾患です。LAM では *TSC1* 又は *TSC2* 遺伝子に変異があるとされ、このために細胞の調節蛋白質である mammalian Target of Rapamycin (mTOR) が恒常的に活性化されていることが明らかになったことから、mTOR の阻害作用を有するシロリムスが LAM 治療薬の候補として着目され、開発が進められました。

LAM 患者を対象とした国際多施設共同プラセボ対照二重盲検比較試験（MILES 試験）が 2006 年に開始され、本剤の肺機能等の改善効果と安全性プロファイルが確認されました。さらに国内では日本人 LAM 患者を対象に、本剤の安全性の検討を主目的とした多施設共同の医師主導治験（MLSTS 試験）が 2 年間継続投与する計画で 2012 年 8 月に開始され、その後の 1 年間の中間報告の結果から日本人 LAM 患者に対する安全性に重大な問題は認められないことが確認されました。

弊社は、これらの臨床試験の結果を踏まえて 2013 年 10 月に製造販売承認申請を行い、2014 年 7 月に「リンパ脈管筋腫症」の効能・効果で本剤の承認を得たものです。なお本剤は、2012 年 9 月に希少疾病用医薬品の指定を受けております。

今後、弊社医薬情報担当者を通じて、本剤の適正使用に関する情報の提供に努めて参りますので、ご指導、ご鞭撻の程、宜しく申し上げます。

謹白

2014 年 7 月吉日

【製品情報お問い合わせ先】

ノーベルファーマ株式会社 カスタマーセンター  
TEL : 0120-003-140 受付 : 9~18 時（土、日、祝日、年末年始を除く）

製造販売元

**ノーベルファーマ株式会社**

〒103-0024 東京都中央区日本橋小舟町 12 番地 10