

2020年6月15日

各位

**赤芽球性プロトポルフィリン症および X 連鎖性プロトポルフィリン症の  
治療薬として開発中の MT-7117 について第 3 相臨床試験を開始**

田辺三菱製薬株式会社（本社：大阪府中央区、代表取締役社長：上野裕明、以下「田辺三菱製薬」）は、当社の米国における開発子会社であるミツビシ タナベ ファーマ ディベロップメント アメリカ（Mitsubishi Tanabe Pharma Development America, Inc. 社長：九鬼秀紀）が、光線過敏症（日光曝露による激しい疼痛を含む）の既往を有する赤芽球性プロトポルフィリン症（EPP）\* および X 連鎖性プロトポルフィリン症（XLP）\* の成人および青年期の患者を対象として、日光下において疼痛を伴わずに活動できる時間を延長させることを目的に開発を進めている経口剤 MT-7117（一般名：dersimelagon）（選択的メラノコルチン 1 受容体作動薬）について、国際共同第 3 相臨床試験を開始しましたので、お知らせします。

2018年6月に、米国食品医薬品局（FDA）より、EPP に対するファストトラック指定を受けており、また、2020年6月8日には、オーファンドラッグ指定を受けました\*\*。

国際共同第 3 相臨床試験は、ENDEAVOR 試験から得られた良好な結果をもとに、これまでに培った経験や知識を活かしながら進めていきます。

ENDEAVOR 試験は、MT-7117 の第 2 相試験（POC 試験）であり、主要評価項目である、16 週時点での日の出後 1 時間から日没前 1 時間までの日光曝露による前駆症状が発現するまでの平均時間が、プラセボ群と比較して、MT-7117 100 mg 群（53.8 分/日、 $p < 0.008$ ）および 300 mg 群（62.5 分/日、 $p < 0.003$ ）で有意に延長することが示されました。

また、MT-7117 の安全性ならびに忍容性は概ね良好であることも確認されました。これらの結果は、米国皮膚科学会（American Academy of Dermatology Annual Meeting ; AAD）年次集会の最新の臨床セッションで発表されました。

EPP 患者の新しい治療法として、経口剤である MT-7117 の開発を進めることによって、患者さんや医療関係者により多くの選択肢を提供できるものと考えています。

田辺三菱製薬は、重篤な疾患と闘う世界の患者さんの希望となる医薬品をいち早くお届けできるよう、研究開発活動を進めてまいります。

以上

\* 難病情報センターウェブサイト: <https://www.nanbyou.or.jp/entry/5546>

\*\* <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/detailedIndex.cfm?cfgridkey=645518>

**田辺三菱製薬株式会社 広報部**

（お問合せ先） 報道関係者の皆様

TEL : 06-6205-5119

◆ MT-7117 (Dersimelagon) について

MT-7117 は、新規に合成された経口投与可能な非ペプチド性の低分子です。メラノコチン 1 受容体 (MC1R) の選択的作動薬であり、赤芽球性プロトポルフィリン症 (EPP) および X 連鎖性プロトポルフィリン症 (XLP) 患者における光線過敏症の予防に有効である可能性があります。田辺三菱製薬は、EPP および XLP の治療薬として本剤を開発中です。

MT-7117 は治験薬であり、米国食品医薬品局 (FDA) またはその他の世界の規制当局による承認を受けていません。なお、MT-7117 は、2018 年 6 月、FDA よりファストトラック指定を受けています。

◆ 赤芽球性プロトポルフィリン症 (EPP) および X 連鎖性プロトポルフィリン症 (XLP) について

希少疾患である赤芽球性プロトポルフィリン症 (EPP) は、フェロケラターゼ (FECH) 遺伝子の変異から生じるヘム生合成経路の遺伝的疾患のひとつです。また、より稀なヘム生合成遺伝子の変異として、 $\delta$  (デルタ) -アミレブリン酸合成酵素 (ALAS2) 遺伝子変異から生じる X 連鎖性プロトポルフィリン症 (XLP) があります。EPP および XLP の特徴的な症状は、血液、赤血球や組織へのプロトポルフィリン蓄積および皮膚の光毒性です。EPP および XLP 患者は、通常、幼少期から激しい痛みを伴う光毒性反応を示すようになりますが、それより前に、皮膚が日光に暴露されることにより、疼くような、刺すような、または、灼けるような感覚の「前駆症状」が現れます。直射日光暴露後の前駆症状は様々ですが、10 分未満で発現することもあります。重要なことは、前駆症状の発現後も持続的に日光に暴露されると、光毒性による疼痛が発現することです。

◆ Mitsubishi Tanabe Pharma Development America, Inc.

ミツビシ タナベ ファーマ デベロップメント アメリカ (MTDA)

MTDA はニュージャージー州ジャージーシティー (Jersey City, New Jersey) を本社拠点にしています。MTDA は田辺三菱製薬が 100% 出資する Mitsubishi Tanabe Pharma Holdings America, Inc. (ミツビシ タナベ ファーマ ホールディングス アメリカ) の子会社です。MTDA は ALS 治療領域では、米国で二十数年ぶりの薬剤となる Radicava (ラジカヴァ) の販売承認を取得した実績があります。今後も患者さんのアンメットメディカルニーズに応える革新的な医薬品の開発を進めてまいります。

<https://mt-pharma-development-america.com/>