

2025 年 11 月 17 日

報道関係各位

【医療関連事業】

**遺伝性血管性浮腫発作抑制薬「ドニダロールセン」
欧州医薬品委員会より承認勧告を受領**

大塚製薬株式会社(本社:東京都、代表取締役社長:井上 眞、以下「大塚製薬」)は、11 月 14 日(現地時間)、欧州医薬品庁(EMA)の医薬品委員会(CHMP)より、遺伝性血管性浮腫(Hereditary Angioedema:HAE)の発作抑制薬として開発する「ドニダロールセン(INN: donidalorsen、開発コード: ISIS 721744)」について、販売承認の勧告を受領しました。今回の CHMP による承認勧告を受け、欧州委員会(EC)より 67 日以内に最終的な承認の可否が判断される予定です。

ドニダロールセンは、RNA を標的とした創薬におけるリーダーである Ionis Pharmaceuticals, Inc.(本社:米国カリフォルニア州、CEO: Brett P. Monia, Ph.D.、以下「アイオニス」)が開発する、HAE の発作抑制薬です。大塚製薬は、成人および 12 歳以上の青年における HAE の遺伝性血管性浮腫発作の再発予防を適応として、ドニダロールセンの医薬品販売承認申請(MAA)を行い、2024 年 12 月に EMA に受理されました。

HAE は、慢性的かつ生命を脅かす可能性のある稀な遺伝性疾患であり、四肢、顔面、腹部、性器、さらには喉頭にまで影響を及ぼす、再発性かつ予測困難な腫脹発作を伴います。これらの発作は、患者さんにとって深刻な健康上のリスクとなります。消化管や喉頭に浮腫が生じれば腹痛や息苦しさを引き起こし、重篤な場合には生命に関わる可能性もあります。5 万人に 1 人の割合で発症するといわれるまれな疾患で、人種差はないと考えられており、約 75%が家族性とされています*。

ドニダロールセンは、肝臓におけるプレカリクレイン(PKK)の産生を特異的に抑制するよう設計された、RNA を標的とする治療薬です。これにより、HAE 発作につながる経路を遮断します。フェーズ 3 試験(OASIS-HAE 試験および OASISplus 試験)では、オートインジェクターによる自己投与時を含め、月平均 HAE 発作率の有意かつ持続的な減少など、複数の評価項目において良好な結果が得られています。

大塚製薬は、2023 年 12 月に本剤の欧州における独占的販売権をアイオニス社から取得するライセンス契約を締結。さらに 2024 年 6 月には、日本を含むアジア地域を対象エリアに追加する契約を締結しています。

大塚製薬は、本剤を欧州およびアジア地域の HAE 患者さんに届けることで、未充足の医療ニーズの解消に貢献できるよう、引き続き尽力してまいります。

*遺伝性血管性浮腫(Hereditary angioedema:HAE)診療ガイドライン 改訂 2023 年版
<https://square.umin.ac.jp/comp/comm/images/disease-information/hae/HAEGuideline2023.pdf>

大塚製薬株式会社について

大塚製薬は、一人ひとりの可能性に向き合うトータルヘルスケアカンパニーです。"Otsuka-people creating new products for better health worldwide"の企業理念のもと、未充足の医療ニーズに新たな価値を提供する医療関連事業と、科学的根拠をもった独創的な製品やサービスにより日々の健康維持・増進をサポートするニュートラシューティカルズ関連事業を通じて、人々のウェルビーイングの実現に向けて取り組んでいます。詳細はコーポレートサイト www.otsuka.co.jp をご覧ください。