

MEDIA RELEASE • COMMUNIQUE AUX MEDIAS • MEDIENMITTEILUNG

2020年11月18日

報道関係各位

ノバルティス ファーマ株式会社

この資料は、ノバルティス（スイス・バーゼル）が2020年10月23日（現地時間）に発表したプレスリリースを日本語に翻訳・要約したもので、報道関係者の皆様に対する参考資料として提供するものです。本剤は日本国内では未承認です。資料の内容および解釈については英語が優先されます。英語版は <https://www.novartis.com> をご参照ください。

ノバルティス、欧州医薬品庁（EMA）が、IgA腎症（IgAN）を対象に、Iptacopan（LNP023）の希少疾病用医薬品指定を承認したことを発表

- 希少疾病用医薬品の指定は、生命を脅かす、または慢性衰弱性の希少疾病を治療する医薬品が対象となる
- IgA腎症（IgAN）は、希少疾病である一方、糸球体腎炎の中で最も一般的な疾患であり、主に若年成人に多く発症する。承認された治療選択肢がなく*、末期腎不全（ESRD）に進行する重大なリスクを有する^{1,2,3}
- Iptacopan（LNP023）は、IgANの病態生理に関与する補体副経路の強力かつ選択的なB因子阻害剤であり、ファーストインクラスの経口薬となる可能性を有する⁴
- Iptacopanは、IgANやC3腎症（C3G）、非典型溶血性尿毒症症候群（aHUS）、膜性腎症（iMN）など多くの腎疾患に対して開発されており、並行して血液疾患である発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）でも開発されている

*日本においては、IgANの適応で承認を取得している薬剤があります。

2020年10月23日、スイス・バーゼル発—ノバルティスは、本日、欧州医薬品庁（EMA）が、希少疾病医薬品委員会（COMP）の勧告を受けて、IgA腎症（IgAN）を対象にIptacopan（開発コード：LNP023）の希少疾病用医薬品指定を承認したことを発表しました。

希少疾病用医薬品には、生命を脅かす、または慢性衰弱性の希少疾病を治療、予防、診断するための医薬品が指定されます。EUにおいては、有病率が10,000人に5人未満であり、現在承認されている診断や予防、治療法がない希少疾患、もしくは、その疾病に罹患した患者に重要な利益をもたらす医薬品が指定されます。

IgANは原発性糸球体腎炎の中で最も一般的な疾患です。異常なIgA抗体が形成される炎症性腎疾患であり、糸球体のメサンギウム領域に免疫複合体が沈着し、腎機能の悪化につながります^{1,2}。

蛋白尿は、IgAN 患者における予後不良の独立した危険因子として認識されています。持続性蛋白尿を有する患者の約 30%が、10 年間で末期腎不全（ESRD）に進行します⁵。現在、IgAN に対して承認された標的治療はありません。

ESRD は、透析または腎移植を必要とし、合併症の重大なリスクや QOL への大きな影響、早期死亡のリスク増加と相関しています⁵。

Iptacopan (LNP023) について

Iptacopan は、炎症反応を惹起する補体系の補体副経路の重要なセリンプロテアーゼである B 因子を選択的に阻害する、ファーストインクラスの低分子経口薬です⁶⁻⁸。

Iptacopan は IgAN に加え、C3 腎症（C3G）、非典型溶血性尿毒症症候群（aHUS）、膜性腎症（iMN）など、アンメットニーズが存在する補体系の関与を伴う多くの腎疾患に対して並行して開発されています。また、ノバルティスは血液疾患である発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）においても Iptacopan の開発を行っています。

8 月に開催された欧州血液骨髄移植学会（EBMT）年次総会において、PNH における第 II 相試験のポジティブな結果が発表されました⁹。また、C3G における第 II 相試験の中間解析結果が、米国腎臓学会（ASN）2020 年次総会で発表されました。ノバルティスは、いくつかの適応症で第 III 相試験を開始する予定です。

Iptacopan は、多くの補体系が関与する疾患において、疾患の進行を遅らせるための初の補体副経路阻害剤となる可能性を有しています。疾患罹患率および第 II 相試験の中間解析結果に基づき、Iptacopan は C3G および PNH において FDA および EMA から希少疾病用医薬品の指定を受けているほか¹⁰、C3G は EMA PRIME 指定も受けています¹¹。

免責事項

本リリースには、現時点における将来の予想と期待が含まれています。したがって、その内容に関して、また、将来の結果については、不確実な要素や予見できないリスクなどにより、現在の予想と異なる場合があることをご了解ください。なお、詳細につきましては、ノバルティスが米国証券取引委員会に届けております Form20-F をご参照ください。

ノバルティスについて

ノバルティスは、より充実したすこやかな毎日のために、これからの医薬品と医療の未来を描いています。私たちは、医薬品のグローバルリーディングカンパニーとして、革新的な科学とデジタルテクノロジーを駆使し、医療ニーズの高い領域で変革をもたらす治療法の開発を行っており、新薬開発のために、常に世界トップクラスの研究開発費を投資しています。ノバルティスの製品は、世界中の 8 億人以上の患者さんに届けられています。また、私たちは、ノバルティスの最新の治療法に多くの方がアクセスできるように革新的な方法を追求しています。約 11 万人の社員が世界中のノバルティスで働いており、その国籍は 140 カ国以上に及びます。詳細はホームページをご覧ください。 <https://www.novartis.com>

以上

参考文献

1. Rodrigues JC et al. IgA Nephropathy. *Clin J Am Soc Nephrol*. 2017 Apr 3; 12(4): 677–686.
2. Rizk DV et al. The Emerging Role of Complement Proteins as a Target for Therapy of IgA Nephropathy. *Front Immunol*. 2019; 10: 504.
3. Xie, J et al. Predicting Progression of IgA Nephropathy: New Clinical Progression Risk Score *PLoS One*. 2012; 7(6): e38904.
4. Thurman, J and al. Complement and Glomerulonephritis. *Clin J Am Soc Nephrol* 11: 1856-1866.
5. Reich HN et al. Remission of Proteinuria Improves Prognosis in IgA Nephropathy *Am Soc Nephrol* 18: 3177–3183, 2007
6. Merle NS, et al. Complement System Part II: Role in Immunity. *Front Immunol*. 2015;6:257.
7. Schubart A, et al. Small-molecule factor B inhibitor for the treatment of complement-mediated diseases. *Proc Natl Acad Sci U S A*. 2019;116(16):7926–7931.
8. Harris CL. Expanding horizons in complement drug discovery: challenges and emerging strategies. *Semin Immunopathol*. 2018;40(1):125–140.
9. Novartis. Novartis announces positive results from Phase II study of LNP023 in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH). Available at: <https://www.novartis.com/news/media-releases/novartis-announces-positive-results-from-phase-ii-study-lnp023-patients-paroxysmal-nocturnal-hemoglobinuria-pnh>. Accessed September 2020.
10. Novartis Data on File
11. Novartis. Novartis received European Medicines Agency (EMA) PRIME designation for iptacopan (LNP) in C3 glomerulopathy (C3G). Available at: <https://www.novartis.com/news/media-releases/novartis-received-european-medicines-agency-ema-prime-designation-iptacopan-lnp-c3-glomerulopathy-c3g>. Accessed October 2020.