

報道関係者各位

2024 年 3 月 26 日

ヴィアトリス製薬株式会社

シスチン症治療剤 システアミン塩酸塩点眼液

「シスタドロップス®点眼液 0.38%」 製造販売承認を取得

「シスチン症における角膜シスチン結晶の減少」を適応とする日本初の治療剤

ヴィアトリス製薬株式会社（本社：東京都港区、代表取締役社長：ソナ・キム）は、本日、「シスチン症における角膜シスチン結晶の減少」の日本初の治療剤である、システアミン塩酸塩点眼液「シスタドロップス点眼液 0.38%」の製造販売承認を取得しましたので、お知らせいたします。本剤はヴィアトリス製薬株式会社として 2020 年の会社設立後初めて承認された先発医薬品となります。

シスチン症は、様々な細胞に存在するリソソームへのシスチンの蓄積により発症する稀な常染色体劣性遺伝形式の先天代謝異常症です。腎、眼球、骨髄、リンパ節等、全身の組織においてリソソーム内にシスチンが蓄積することにより細胞障害が生じます。3 つの病型に分類されるシスチン症において、患者さん全体の大部分を占め、最も重症な腎障害型では 2 歳ごろまでにシスチン結晶が眼球角膜に沈着し、痛みや眩しさを引き起こします。また、角膜のシスチン結晶の蓄積は病型によらず認められ、未治療の場合、角膜のシスチン結晶は様々な眼症状による視力障害を引き起こし、失明に至るリスクを有します。欧米での罹患率は 10 万人から 20 万人に 1 人^{*1}と報告されています。日本国内における患者数は、2023 年 9 月時点で 17 名^{*2}とされています。

本剤については、厚生労働省による「第 4 回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外の要望募集」に対し、日本先天代謝異常学会およびシスチノーシス患者と家族の会から「未承認薬・適応外薬の要望（要望番号：IV-47）」が提出されていました。また、「システアミン塩酸塩」は厚生労働省により希少疾病医薬品として指定されています。本剤は、世界 42 の国と地域で承認され、使用されています。

ヴィアトリス製薬株式会社 代表取締役社長のソナ・キムは、次のように述べています。

「多くの医療従事者、患者さん・ご家族等のご協力により臨床試験が実施され、今回、シスタドロップス点眼液の日本における製造販売承認を取得することができました。本剤はヴィアトリス製薬にとって 2020 年の会社設立後、初めて製造販売承認を取得した先発医薬品となり、イノベーションを通じて患者さんへ貢献するという強い思いが象徴されたものです。この記念すべき日本初の治療剤が、治療選択肢を心待ちにしていたシスチン症患者さんの QOL 維持に貢献できることを大変嬉しく思います。

ヴィアトリスは革新的な新薬からジェネリック医薬品まで幅広いポートフォリオを通じて、希少疾患から慢性疾患まで多くの疾患領域をカバーするユニークなヘルスケア企業として、今後も私たちのミッション『世界中の誰もが人生のあらゆるステージでより健康に生きられるよう貢献します』の実現に向けて、尽力してまいります。」

製品概要

＜承認日：2024 年 3 月 26 日（火）＞

販売名	一般名	薬効分類名	効能・効果	製造販売元	販売
シスタドロップス® 点眼液 0.38%	システアミン塩酸塩 点眼液	シスチン症治療剤	シスチン症における 角膜シスチン結晶の 減少	ヴィアトリス 製薬株式会社	ヴィアトリス 製薬株式会社

*1 シスチノーシス（シスチン蓄積症）診療ガイドライン 2019（日本先天代謝異常学会）

*2 国立国際医療研究センター病院・研究所の調査より

【シスチン症について】

シスチン症は、様々な細胞に存在するリソソームへのシスチンの蓄積により発症する稀な常染色体劣性遺伝形式の先天代謝異常症です。本症は人種にかかわらず発症が認められており、欧米での罹患率は 10 万人～20 万人に 1 人と報告されています。日本国内においては、2023 年 9 月時点で 17 名とされています。本症の原因は、シスチンをリソソームから細胞質へ輸送する膜輸送担体であるシスチノシンの先天欠損となり、腎、眼球、骨髄、リンパ節等、全身の組織においてリソソーム内にシスチンが蓄積することにより細胞障害が生じます。その中でも、患者さん全体の約 95%を占める「腎障害型」は、最も重症度の高い病型です。生後 6 か月頃から腎尿細管機能障害を発症し、体重増加不良、アシドーシス、筋緊張低下、くる病、多飲多尿が発現します。また、2 歳頃までにシスチン結晶が眼球角膜に沈着し、痛みや羞明（眩しさ）を引き起こします。未治療の場合、10 歳頃までに末期腎不全に進行する可能性があります。

【システアミン塩酸塩点眼液について】

システアミンはシスチン除去作用を有します。従って、シスチン症の全身的治療としては、シスチン蓄積を減少させ、臓器及び組織の障害を遅らせる目的でシステアミンの経口投与が行われています。欧米と同様、日本においても、システアミン酒石酸塩を含有する経口システアミン製剤のニシスタゴン®カプセル（製造販売：ヴィアトリス製薬株式会社）が腎性シスチン症治療剤として製造販売承認されています。

一方、角膜は無血管組織であるため、システアミンの全身的治療では角膜シスチン結晶の減少効果は期待できま

せん。未治療の場合、角膜のシスチン結晶は様々な眼症状による視力障害を引き起こし、患者は失明に至るリスクを有します。角膜のシスチン結晶蓄積に対する最も有効な治療は、システアミン点眼剤の投与です。欧州においては、2017年1月19日、「成人及び2歳以上の小児のシスチン症患者における角膜シスチン結晶沈着の治療」を適応として、Recordati Rare Diseases Sarl が Cystadrops 3.8 mg/mL eye drops solution の名称で承認を取得しています。米国においては、2020年8月19日、「成人及び小児のシスチン症患者における角膜シスチン結晶沈着の治療」を適応として、Recordati Rare Diseases が CYSTADROPS® (cysteamine ophthalmic solution) 0.37% の名称で承認を取得しています。Recordati Rare Diseases は、日本における本製品の独占的権利をヴィアトリスに付与しました。

【ヴィアトリスについて】

ヴィアトリスは、ジェネリック医薬品と先発医薬品の間にある差異を埋める独自の位置を占めており、両者の長所を組み合わせることで、世界のヘルスケアニーズにより包括的に対応する世界規模で事業展開するヘルスケア企業です。当社は、「世界中の誰もが、人生のあらゆるステージで、より健康に生きられるよう貢献します」というミッションのもと、大規模な医薬品のアクセスを提供します。2022年には、世界中の約10億人の患者さんに高品質の医薬品をお届けしました。非常に広範かつ多様な医薬品ポートフォリオ、必要なときに必要な場所でより多くの人々に手を差し伸べることを可能にする比類のない世界規模のサプライチェーン、そして高度なサイエンスの専門知識により、私たちは世界で尽きることのないヘルスケアの課題に取り組んでいます。ヴィアトリスではアクセスは深い意味を持ちます。私たちは、生まれたときから人生を終えるときまで、急性症状から慢性疾患まで、人生のあらゆる瞬間に関わっています。ヴィアトリスは米国に本社を置き、ペンシルベニア州ピッツバーグ、中国上海、インドのハイデラバードにグローバルセンターを有しています。詳細については、viatris.com および investor.viatris.com、[LinkedIn](#)、[Instagram](#)、[YouTube](#)、[X \(旧: Twitter\)](#) をご覧ください。

【Recordati について】

Recordati Rare Diseases では、“Focused on the few”の考えのもと、緊急に必要とされている治療を提供することで、深刻な希少疾患の影響を軽減することを使命としています。Recordati Rare Diseases は、希少疾患の患者様への最も効果的な治療の提供に注力し、2007年からRecordatiグループの一部を構成しています。幅広い疾患領域において治療選択肢を提供し、研究開発から化学物質及び最終製品の製造、そして商業化とライセンス供与に至るまで完全に統合されたオペレーションを実現するため、Recordati は独自の構造を有しています。Recordati は、健康、そして人生を最大限まで生きる機会、特権ではなく権利であると信じています。Recordati の願いは、人々に人生の可能性全てを引き出す機会を提供することです。

Recordati (Reuters RECI.MI, Bloomberg REC IM) はイタリア証券取引所 (ISIN IT 0003828271) に上場している国際的な製薬グループであり、スペシャリティおよびプライマリケアからコンシューマー・ヘルスケア、そして希少疾患に至るまでの治療を提供するため、独自の構造を有しています。Recordati は、健康、そして人生を最大限まで生きる機会、特権ではなく権利であると信じています。Recordati の願いは、人々が人生における可能性全てを引き出す支援をすることです。Recordati は、研究開発から化学物質及び最終製品の製造、商品化とライ



センス供与までのオペレーションを完全に統合いたしました。Recordati は 1926 年に設立され、ヨーロッパ、中東、アフリカ、南北アメリカ、アジア太平洋地域のおよそ 150 か国でビジネスを営んでいます。2023 年末時点で、Recordati は 4,450 名以上の社員を有し、20 億 8,230 万ユーロの連結収益を上げています。より詳しい情報は、こちらをご覧ください：www.recordati.com