

2025年9月17日

各位

会社名 シンバイオ製薬株式会社
代表者名 代表取締役社長兼 CEO 吉田 文紀
(コード番号：4582)
問合せ先 IR室 (TEL. 03-5472-1125)

注射剤プリンシドフォビル、欧州医薬品庁が造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症のグローバル第Ⅲ相試験開始の要件である小児医薬品開発計画を承認

シンバイオ製薬株式会社（以下、シンバイオ製薬）は、欧州医薬品庁（EMA）がアデノウイルス感染症を対象とした注射剤プリンシドフォビル（IV BCV）の、グローバル第Ⅲ相試験を含む当社の小児医薬品開発計画（PIP）を承認したことをお知らせします。

当社のチーフ・メディカル・オフィサー、エヌケチ・アジィ医師は次のように述べています。
「現在治療法が存在しない重篤な疾患である造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症に対するグローバル第Ⅲ相試験を開始するにあたり、本感染症は特に小児患者が多く致死率が高いことからPIPの承認取得は極めて重要な意義があります。」

今回のPIP承認により、IV BCVの医薬品開発がEMAの小児における開発要求を十分に満たしていることが確認され、将来の欧州における販売承認申請の布石として強固な基盤が築かれたこととなります。なお、IV BCVはEMAより既に本適応症におけるオフアンドラッグ指定（ODD）を受け10年間の市場独占期間を得ていますが、PIP承認による2年間の延長により市場独占期間は12年間となります。

今回、PIPが承認されたことを受け、引き続きシンバイオ製薬は、規制当局、治験責任医師、そして患者コミュニティと緊密に連携しながらグローバル第Ⅲ相試験開始に向けて着実に進めてまいります。なお、グローバル第Ⅲ相試験は2025年6月27日にEMAに治験申請（CTA）を提出済みです。

なお、本件が2025年12月期業績に与える影響はありません。

以上

注記

注射剤プリンシドフォビル（IV BCV）について

IV BCVは、米国で承認・販売されている抗ウイルス薬シドフォビル（CDV：日本では未承認）の脂質抱合体です。BCVは新規の作用機序をもち、サイトメガロウイルス（CMV）やエプスタイン・バー・ウイルス（EBV）などのヘルペスウイルス、アデノウイルス、BKウイルス、パピローマウイルス、エムポックスや天然痘ウイルスなどのオルソポックスウイルスといった広範な二本鎖DNAウイルス感染症に対して有効な治療薬となることが期待されています。なお、注射剤BCVは、経口剤BCVにおいてみられた重篤な下痢の症状はなく、またCDVを含む他の抗ウイルス薬の重大な副作用である腎毒性や骨髄抑制は認められていません。

造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症について

免疫不全状態にある造血幹細胞移植（HSCT）後に起こるアデノウイルス感染症は、特に小児にとって、生命を脅かす合併症です。世界の患者数は2022年において約2,700人と推定され、2030年には3,500人以上に増加すると予想されています。また、アデノウイルス感染症は、HSCTを受けた小児患者の約30%、成人患者の6%にみられ、高い死亡率が報告されています。造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症には承認された治療法がないため、有効な治療薬の開発が強く望まれています。

IV BCVのグローバル第Ⅲ相試験について

造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症のグローバル第Ⅲ相試験は欧米日英の4地域において180症例の登録を約80施設で行い、小児および成人を対象として有効性と安全性を評価します。既に2025年6月27日にEMAにCTA提出済みです。第Ⅱ相試験と同様に、アデノウイルス血症（血液のウイルスが検出される状態）がある患者を登録します。シンバイオ製薬は、まずは欧州における販売承認申請を2028年下半年に目指しています。その後順次、欧州以外の地域においても承認申請を目指します。試験デザインに関する詳細は、本年6月30日付けの当社プレスリリースをご参照ください。

小児医薬品開発計画（PIP）について

成人を対象として開発される医薬品が小児に対しても適切に開発されることを保証するため、EMAによりPIPの作成が義務付けられています。PIPには、臨床試験の詳細、実施スケジュール、使用製剤などの事項が含まれています。PIPの承認を受けることが、EMAに対しての販売承認申請の必要条件となっています。PIPの承認取得により、欧州市場における独占期間はオーファンドラッグ指定による独占期間の10年に加え2年間延長、計12年間となります。

3つの治療領域を柱としたBCVの事業戦略

シンバイオ製薬は2019年9月、BCVのグローバルライセンスを取得して以来、3つの治療領域において、そのポテンシャルを掘り起こすことを目的として世界最高レベルの研究機関と共同研究を進めてきました。現在、対象疾患領域として、造血幹細胞移植後のウイルス感染症領域をはじめ、第2の柱として血液がん・固形がん領域、第3の柱として脳神経変性疾患領域の3治療領域を中心に経営資源を集中して開発を進め、グローバルに事業展開をすることによりBCVの事業価値の最大化を目指しています。すでに、第1の柱として、造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症における国際共同第Ⅲ相臨床試験を年内に開始することを目標に準備を進めています。第2の柱である血液がん領域のNK/T細胞リンパ腫にお

いては、第Ib/II相臨床試験を開始し、現在、症例集積を進めており、2028年中の承認申請を目指しています。また固形がん領域においても、脳腫瘍および頭頸部がんをはじめとして臨床試験開始に向けて検討を進めています。脳神経変性疾患においては、今後、多発性硬化症（MS）ならびに進行性多巣性白質脳症（PML）を対象として臨床試験を進める予定です。

