

帝人株式会社 ■ コーポレートコミュニケーション部

●東京本社 〒100-8585 東京都千代田区霞が関3丁目2番1号 霞が関コモンゲート西館 TEL.03-3506-4055 FAX.03-3506-4150
●大阪本社 〒530-8605 大阪市北区中之島3丁目2番4号 中之島フェスティバルタワー・ウエスト TEL.06-6233-3413 FAX.06-6233-5040
●URL <https://www.teijin.co.jp>

2025年 6月 3日

国内臨床試験準備中の「軟骨無形成症」治療薬 「TransCon CNP」が厚生労働省より希少疾患用医薬品に指定

帝 人 フ ァ ー マ 株 式 会 社

帝人ファーマ株式会社（本社：東京都千代田区、社長：種田 正樹）が国内開発準備を進めている「TransCon CNP（Navepegritide、開発コード：ACP-O15）」について、軟骨無形成症を予定される効能又は効果として、厚生労働省より希少疾患用医薬品の指定を受けました。帝人ファーマは今回の指定によって「TransCon CNP」の臨床試験準備を加速させ、2025年度上半期中に国内第Ⅲ相試験を開始する予定です。

1. 背景・経緯

- （1）帝人ファーマは、2023年11月29日に Ascendis Pharma, A/S.（本社：デンマーク コペンハーゲン、社長兼最高経営責任者：Jan Møller Mikkelsen、以下「アセンディス・ファーマ社」）と、「TransCon CNP」の日本国内における研究、開発、製造、販売に関する独占的ライセンス契約を締結しました。
- （2）「TransCon CNP」は、C型ナトリウム利尿ペプチド（CNP）を TransCon 技術(*1)によって長時間作用させることにより、投与頻度を低減し、軟骨無形成症に対する国内で初めての週1回投与の治療薬として治療負担の軽減が期待されます。現在、帝人ファーマが軟骨無形成症の小児患者を対象に国内臨床試験を準備中です。
- （3）軟骨無形成症は、線維芽細胞増殖因子受容体3型（FGFR3）遺伝子の変異に伴う遺伝性疾患であり、特徴的な低身長や骨の成長異常に加えて、さまざまな合併症を引き起こします。軟骨無形成症の患者は、およそ2万人に1人の割合で生まれるとされ、指定難病に認定されています。（*2）
- （4）現在、一定の基準を満たした軟骨無形成症に対して、成長ホルモン治療やC型ナトリウム利尿ペプチド（CNP）アナログ製剤による治療が保険適用になっています。脚や腕の短さを改善するために、下肢や上肢を延長する手術が行われることもあります。（*3）

(*1) 出典：[テクノロジー | アセンディス・ファーマ](#)

生理活性を持たないキャリアと活性型ホルモンを、架橋剤を介して結合させ不活性体として投与することで、体内で活性型ホルモンがキャリアから徐々に放出され、ホルモン

の長時間作用が達成されるアセンディス・ファーマ社独自の技術

(*2) 出典：[軟骨無形成症（指定難病276） - 難病情報センター（nanbyou.or.jp）](#)

(*3) 出典：[軟骨無形成症 日本小児内分泌学会](#)

2. 「TransCon CNP」について

- (1) アセンディス・ファーマ社が実施した2歳から11歳の軟骨無形成症患者を対象とした後期第Ⅱ相臨床試験(ApproaCH Trial)のトップライン結果では、「TransCon CNP」がプラセボ群と比較して年間成長速度を有意に改善することが示されました。(*4)
- (2) アセンディス・ファーマ社は、「TransCon CNP」について、2025年3月末に米国で新薬承認申請をしており、欧州では2025年第3四半期に販売承認申請予定です。

(*4) 出典：[TransCon™ CNP \(navepegritide\) ApproaCH Trial Topline Results](#)

3. 希少疾病用医薬品について

- (1) 希少疾病用医薬品は、医薬品医療機器法に基づき、対象患者数が本邦において5万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、薬事審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定するものです。
- (2) 「TransCon CNP」は、米国と欧州の両方で軟骨無形成症の治療薬として希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）の指定を受けています。今回、日本でも希少疾病用医薬品の指定を受けたことにより、国内開発などに対してさまざまな支援措置を受けることが可能となります。

4. 今後の展開について

帝人ファーマは、「より支えを必要とする患者、家族、地域社会の課題を解決する会社」となることを長期ビジョンとして掲げ、希少疾患や難病領域に注力しています。今後は、在宅医療で培った事業基盤と医薬品、医療機器を組み合わせ、誰もが住み慣れた自宅で安心して治療を継続できる新しい価値提供を推進し、患者さんが必要とする治療（医薬品・医療機器）の普及に貢献することを目指します。

以 上

【報道関係のお問合せ先】

帝人株式会社 コーポレートコミュニケーション部 TEL: (03) 3506-4055