

進行性骨化性線維異形成症日本初の治療薬 ソホノス®（パロバロテン）の日本における製造販売承認を取得

- » ソホノス®（パロバロテン）は、進行性骨化性線維異形成症（Fibrodysplasia ossificans progressiva : FOP）と共に生きる患者さんの軟部組織および結合組織における新たな異常骨形成を抑制しました
- » FOP は、異常な骨形成が持続的かつ恒久的に進行する希少骨疾患であり、進行性の運動機能低下と平均余命の短縮を引き起します
- » ソホノス®は、成人並びに 8 歳以上の女児 及び 10 歳以上の男児患者さんを対象に承認された日本における初めての FOP に対して使用可能な治療薬です

日本・東京 - 2026 年 2 月 19 日

IPSEN 株式会社は本日、ソホノス®（パロバロテン）について、「進行性骨化性線維異形成症」を効能又は効果として厚生労働省から製造販売承認を取得したことをお知らせいたします。

IPSEN 株式会社 代表取締役社長の野田 征吾は次のように述べています。

「私たちは、FOP と共に生きる患者さんとそのご家族、そして医療従事者の方々と連携し、FOP と共に生きる日本の患者さんが切実に求める治療の選択肢をお届けするために、たゆまぬ努力を続けてまいりました。身体機能の著しい低下を引き起す FOP と生きる患者さんの生活に深刻な影響を及ぼす異所性骨化として知られる新たな異常骨形成を抑制することが示された革新的な医薬品の製造販売承認を取得できたことを心より嬉しく思っております。」

FOP は稀な骨疾患であり、筋肉、腱、靭帯などの軟部組織や結合組織において、永久的かつ継続的な骨形成が進行することを特徴とします。これは、異所性骨化または HO (Heterotopic ossification) と呼ばれます¹。世界では少なくとも 900 人、国内ではおよそ 60~84 名がこの疾患の影響を受けていると報告されています²。FOP と共に生きる患者さんのほとんどは、いずれ自力での飲食が困難となり、身の回りのことも自力では行うことが難しく、仕事選びにも影響を受ける可能性があります³。また、30 歳までに、多くの FOP 患者さんが車椅子および介助者の常時補助を必要となることが報告されています⁴。これまで疾患の進行を抑制する治療選択肢は限られており、治療は主に対症療法や支持療法を中心として行われてきました。FOP では胸郭周囲への骨形成の進行により呼吸機能に影響を及ぼす場合があり、これが生命予後に関与し FOP 患者さんの平均余命は 56 歳と報告されています⁴。

厚生労働省によるソホノス®の承認は、成人並びに 8 歳以上の女児及び 10 歳以上の男児患者さんを対象とした最初の多施設共同非盲検試験である第 III 相 MOVE 試験の主要な有効性および安全性データに基づいています。『Journal of Bone and Mineral Research』に掲載された 18 か月間のデータには、経口パロバロテンを投与された 107 人の患者さん（世界の推定 FOP 患者数の約 12%）が含まれており、IPSEN が実施したグローバル FOP 自然歴研究における未治療患者さんとの比較解析が行われています^{5,6}。試験の結果、標準治療を超える治療を行わなかった対照群と比較して、パロバロテン投与群では年間換算の異所性骨化体積の低減が認められました（加重線形混合効果モデル解析で 54% の減少）⁵。また、本試験において確認された安全性プロファイルは、全身性レチノイド製剤の既知の安全性プロファイルと概ね一致していました。試験治療下で最も頻繁に報告された有害事象は、皮膚乾燥、口唇乾燥、脱毛症、薬疹、発疹、そう痒症などの粘膜皮膚症状、ならびに関節痛や、成長期の小児における早期成長板閉鎖などの筋骨格系事象でした⁵。詳細は電子添文をご参照ください。

以上

IPSEN について

当社は、オンコロジー、希少疾患、神経科学の 3 つの治療領域において、患者さんに革新的な医薬品を届けることを使命とするグローバル・バイオ医薬品企業です。

当社のパイプラインは、社内外のイノベーションによって支えられており、約 100 年にわたる開発経験と、米国、フランス、英国に設置されたグローバル拠点により推進されています。40 か国以上に展開する当社のチームと世界各国のパートナーシップを通じて、100 か国以上の患者さんに医薬品をお届けしています。

IPSEN はパリ（ユーロネクスト：IPN）に上場しており、米国ではスポンサー付きレベル I 米国預託証券（ADR：IPSEY）を通じて上場しています。詳細は ipsen.com をご覧ください。

IPSEN お問い合わせ: 03-6205-3483

免責事項および将来の見通しに関する記述

本資料に含まれる将来の見通しに関する記述、目的および目標は、イプセンの経営戦略、現時点での見解および仮定に基づいています。これらの記述には、既知および未知のリスクや不確実性が含まれており、実際の結果、業績または事象が本資料で予想される内容と大きく異なる可能性があります。上記のリスクはすべて、イプセンが財務目標を達成する将来的能力に影響を与える可能性があります。これらの目標は、現時点で入手可能な情報に基づき、合理的なマクロ経済状況を想定して設定されています。「信じる（believes）」「予期する（anticipates）」「見込む（expects）」および類似の表現は、将来の見通しに関する記述を特定する目的で用いられています。これには、規制当局への申請やその決定などの、イプセンが将来の出来事について持つ見込みが含まれます。さらに、本資料に記載された目標は、外部成長の想定や将来の買収の可能性を考慮せずに作成されており、これらにより目標の根拠や条件が変更となる可能性があります。これらの目的は、イプセンが合理的とみなすデータおよび前提に基づいています。これらの目標は将来起こりうる状況や事実に基づいており、過去のデータのみに依存するものではありません。特定のリスクや不確実性が生じた場合、実際の結果はこれらの目標から大きく逸脱する可能性があります。特に、開発初期段階や臨床試験段階にある有望な医薬品が、規制上の理由や競争上の理由などにより、市場に投入されない、あるいは商業的目標を達成できない場合があります。イプセンは、自身の市場シェアの喪失につながる可能性のある後発医薬品との競争にほぼ確実に直面するか、または直面する可能性があります。さらに、研究開発プロセスには複数の

段階があり、各段階においてイプセンが目標を達成できず、多額の投資を行った医薬品に関する取り組みを断念せざるを得ないという重大なリスクが伴います。したがって、イプセンは、前臨床試験で得られた良好な結果が臨床試験でその後確認される保証はなく、また臨床試験の結果が当該医薬品の安全性および有効性を十分に示すことを保証するものではありません。医薬品が必要な薬事承認を取得すること、あるいは商業的に成功する保証はありません。基礎となる前提が不正確であったり、あるいはリスクや不確実性が現実化した場合、実際の結果は将来の見通しに関する記述に記載された内容と大きく異なる可能性があります。その他のリスクおよび不確実性には、業界の一般的な状況および競争、金利・為替レートの変動を含む一般的な経済的要因、医薬品業界の規制や医療関連法の影響、医療費抑制に向けた世界的な傾向、技術進歩、新薬開発、競合他社による新薬および特許取得、薬事承認取得を含む新薬開発に内在する課題、イプセンが将来の市場状況を正確に予測する能力、製造上の困難または遅延、国際経済における金融不安定性およびソブリンリスク、イプセンの革新的医薬品に対する特許およびその他の保護の有効性への依存、ならびに特許訴訟を含む訴訟および規制措置への曝露などが挙げられますが、これらに限定されません。また、イプセンは一部の医薬品の開発および販売を第三者に依存しており、これにより多額のロイヤルティが発生する可能性があります。これらのパートナー企業は、イプセンの事業活動や財務実績に損害を与えるような行動を取る可能性があります。イプセンは、パートナー企業が義務を果たすことを確約できません。また、これらの契約から何の利益も得られない可能性があります。イプセンのパートナー企業のいずれかが債務不履行に陥った場合、予想を下回る収益が生じる可能性があります。このような状況は、イプセンの事業、財務状況、業績に悪影響を及ぼす可能性があります。イプセンは、適用される法令により要求される場合を除き、本プレスリリースに含まれる将来の見通しに関する記述、目標、または見積もりを、それらの記述の根拠となる事象、条件、仮定、または状況の変化に応じて更新または修正する義務または約束を明示的に否認します。イプセンの事業は、フランス金融市場庁 (Autorité des Marchés Financiers) に提出された登録書類に記載されているリスク要因の影響を受けます。ここに記載されているリスクおよび不確実性は網羅的なものではなく、読者は ipsen.com で入手可能なイプセンによる最新のユニバーサル登録書類をご参照いただくことを推奨します。

参考文献

1. Kaplan FS, et al. The medical management of fibrodysplasia ossificans progressiva: current treatment considerations. Proc Intl Clin Council FOP. 2024; 3:1-159.2008 年厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患克服研究事業 脊柱韌帯骨化に関する調査研究、FOPに関する研究班による調査の結果参考
2. Al Mukaddam M, et al. The impact of fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) on patients and their family members: results from an international burden of illness survey. Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res. 2022;22(8):1199-1213.
3. Liljesthröm M, Pignolo RJ, Kaplan FS. Epidemiology of the Global Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP) Community. J Rare Dis Res Treat. 2020;5(2):31-36.
4. Pignolo RJ, et al. Reduction of New HO in the Open-Label, Phase 3 MOVE Trial of Palovarotene for Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP). J Bone Miner Res. 2022;38(3):281-394.
5. Pignolo RJ, et al. The natural history of fibrodysplasia ossificans progressiva: A prospective 36-month study. Gen Med. 2022;24(12):2422-2433.