

2022年4月27日

報道関係各位

ファーマエッセンシアジャパン株式会社

**ファーマエッセンシアジャパン、真性多血症の治療薬として  
新規の長時間作用型モノペグ化プロリンインターフェロン  
Ropeginterferon alfa-2b (P1101)の日本における製造販売承認を申請**

**— 革新的な“部位選択的ペグ化技術”プラットフォームで生まれた  
ファーマエッセンシアジャパンの最初の製品 —**

アジア発のグローバル・バイオフーマ、PharmaEssentia Corporation(本社:台湾台北、創業者兼最高経営責任者 林 國鐘、以下 PharmaEssentia)の日本法人であるファーマエッセンシアジャパン株式会社(本社:東京、代表取締役社長:米津克也、以下ファーマエッセンシアジャパン)は、このたび、Ropeginterferon alfa-2b (P1101)について、真性多血症(PV)の治療薬として、厚生労働省に製造販売承認申請を行いましたのでお知らせします。

Ropeginterferon alfa-2b (P1101)は、新規の長時間作用型モノペグ化プロリンインターフェロンであり、薬物動態の特性が改善したことにより従来のペグ化インターフェロンからさらに投与間隔を延長できることが期待されています。Ropeginterferon alfa-2b (P1101)は、米国において真性多血症(PV)の治療薬として希少疾病用医薬品に指定され、2021年にはアメリカ食品医薬品局(FDA)にて承認され、販売されています。

今回の申請は、国内第Ⅱ相臨床試験(A19-201 試験)を含む、一連の臨床開発プログラムの結果に基づくものです。

ファーマエッセンシアジャパン株式会社 代表取締役社長 米津克也は次のように述べています。「Ropeginterferon alfa-2b (P1101)は、PharmaEssentia が開発した革新的な“部位選択的ペグ化技術”プラットフォームによって生み出された最初の製品であり、弊社にとり日本で最初に製造販売承認を申請した製品となります。弊社にとって大きな一歩であるとともに、開発にご協力いただいた皆様には深く感謝を申し上げます。私たちは、希少血液がんという困難な疾患に対する新たな治療選択肢の開発を通じて、医療の進歩および日本の患者さんに貢献することを目指しています。そのために、今後も真の患者志向であり続けるよう取り組んでまいります。」

**真性多血症(PV)について**

真性多血症は骨髄増殖性腫瘍の一種で、骨髄の造血幹細胞(血液の種)の異常により、赤血球が過剰に産生される希少性の血液疾患です。PVは、遺伝子変異によって発症すると考えられており、ほぼ全てのPV患者で造血幹細胞中のヤヌスキナーゼ2(JAK2)遺伝子に「JAK2 V617F」と称

される変異が生じ、著しい赤血球の増加をきたします。

PV はどの年齢でも発症しますが、特に 60 歳以上の成人に多く認めます。症状は、頭痛、疲労、脱力感、浮動性めまい等さまざまですが、心筋梗塞や脳卒中などの血栓症が引き起こされることがあり、その場合には生命にかかわることがあります。また、一部の患者さんは経過中に疾患が進行し、より重篤な血液がんである骨髄線維症や白血病に移行することもあります。

治療は血栓症を予防することが一番の目標とされており、瀉血や抗血小板療法、細胞減少療法、分子標的治療薬等によってヘマトクリット値をコントロールすることで血栓症の予防は可能であると考えられています。しかしその一方で、現在の治療では PV を根本的に治癒させることは困難であるため、症状のコントロールや疾患進行の阻止などにおいて、依然として患者さんの治療満足度が低いアンメット・メディカル・ニーズが存在しています。

### 部位選択的ペグ化技術について

ファーマエッセンシアのコアテクノロジーである“部位選択的ペグ化技術”は、タンパク質分子内の特定のアミノ酸を、ポリエチレングリコール(PEG)という高分子化合物によって、選択的に修飾できるようにした革新的な技術です。従来のペグ化技術では、タンパク質分子内の異なる部位のアミノ酸がペグ化された「ペグ化タンパク質」が混在し、ペグ化部位の違いによる不均一性が生じていましたが、“部位選択的ペグ化技術”は化学的に均一な「ペグ化タンパク質」の合成を可能にしました。このペグ化によってタンパク質医薬の体内における分解が抑制され、半減期の延長と長時間にわたる効果の持続につながり得る、優れた薬物動態/薬力学的特性を示します。また、部位選択的ペグ化タンパク質医薬は化学的に均一な単一アイソマーであることから、副作用を引き起こす原因となる他のアイソマーを含まないため患者さんの負担を軽減することが期待されます。

### PharmaEssentia Corporation について

PharmaEssentia Corporation (TPEX: 6446) は、2003 年に台湾系アメリカ人の経営者と米国バイオテクノロジー企業や製薬企業出身の著名な科学者からなるチームによって設立されました。深い専門知識と実証された科学的原理を活用して、血液・腫瘍領域の困難な疾患に効果的な新しい生物製剤を提供することをミッションとしています。現在は、本社所在地である台湾に加え、米国、日本、中国、韓国で事業を展開しているほか、世界有数のバイオリジクス生産施設を台中に保有し、革新的バイオ医薬品企業として飛躍的に成長しています。PharmaEssentia Corporation は多様なパイプラインを有しており、グローバルなプレゼンスを拡大しています。

詳細については、<https://www.pharmaessentia.com/> をご覧ください。

### ファーマエッセンシアジャパン株式会社について

ファーマエッセンシアジャパン株式会社は、台北に本社を置く PharmaEssentia Corporation の日本法人として 2017 年に設立されました。昨今の急速な創薬技術の発展は、多くの画期的な新規治療薬を生み出しましたが、医療現場では“真の治療ゴール”を満たしていない疾患領域が未だ存在しています。ファーマエッセンシアジャパンが目指すのは、このような見過ごされてきた“真の治療ゴール”の達成です。バイオアベイラビリティや忍容性の問題により、今まで十分にそのポテンシャル

ルを発揮できなかった治療薬を、自社のコアテクノロジーである“部位選択的ペグ化技術”プラットフォームを応用してアンメット・メディカル・ニーズを満たすことを目指しています。日本においては、主に血液疾患領域、感染症領域、および皮膚科領域を重点領域として、日本の医療および患者さんへのさらなる貢献を果たすべく活動しています。

詳細については、<https://jp.pharmaessentia.com/> をご覧ください。

本ニュースリリースに記載されている医薬品情報は、当社の経営情報の開示を目的とするものであり、開発中のものを含むいかなる医薬品の宣伝、広告を目的とするものではありません。

以上

### **ファーマエッセンシアジャパン株式会社 会社概要**

代表取締役社長： 米津 克也

所在地： 〒107-0051 東京都港区元赤坂 1-3-13 赤坂センタービル 12 階

電話： 03-6910-5103

FAX： 03-6910-5109

URL： <https://jp.pharmaessentia.com/>

<本件に関するお問い合わせ>

ファーマエッセンシアジャパン株式会社

社長室/PR 担当

担当： 天野 由貴 Amano, Yuki

e-mail: [yuki\\_amano@pharmaessentia.com](mailto:yuki_amano@pharmaessentia.com)