

2026年3月24日

報道関係各位

株式会社オーファンパシフィック

活性化 PI3K δ 症候群 (APDS) 治療薬「ジョエンジャ®錠」(一般名: レニオリシブ) の
日本における製造販売承認取得のお知らせ

株式会社オーファンパシフィック(本社: 東京都港区、代表取締役社長 原 愛、以下「オーファンパシフィック」)と Pharming Group N.V.(本社: オランダ、以下「Pharming グループ」)は、成人及び4歳以上の小児に対し、活性化 PI3K δ 症候群 (Activated Phosphoinositide 3-kinase Delta Syndrome、以下「APDS」)を効能又は効果とした選択的 PI3K δ 阻害剤「ジョエンジャ®錠 70mg」「ジョエンジャ®錠 30mg」「ジョエンジャ®錠 10mg」(一般名: レニオリシブ、leniolisib)について、オーファンパシフィックが2026年3月23日付で日本における製造販売承認を取得しましたのでお知らせいたします。

日本では Pharming グループとオーファンパシフィックの間で締結した契約に基づき、オーファンパシフィックが製造販売承認申請を行い、この度、承認を取得しました。今後、Pharming グループと連携し、オーファンパシフィックが日本国内において本剤の供給および流通・販売を行ってまいります。

APDSは、PI3K δ シグナル伝達経路を調節する遺伝子の変異によって引き起こされる、まれな遺伝性の原発性免疫不全症です。この疾患は免疫調節異常や反復感染症を引き起こし、世界中で約100万人に1から2人が罹患しています。本剤は、APDSの原因となるPI3K δ 経路を選択的に阻害することで疾患のメカニズムに作用し、APDS患者さんの治療や病状コントロールの改善に寄与することが期待される治療薬です。

オーファンパシフィックは、本邦のAPDS患者さんとそのご家族、そして患者さんを支える医療関係者の皆様に本剤を一日も早くお届けできるよう、Pharming グループと協力して安定供給と適正使用の推進に努めてまいります。

なお、本剤は2023年5月に日本において希少疾病用医薬品の指定を受けています。

■ 活性化 PI3K δ 症候群 (APDS) について

APDSは、2013年に初めて特徴付けられた希少な原発性免疫不全症です。APDSは、体内の免疫細胞の発達と機能に不可欠な *PIK3CD* または *PIK3R1* のいずれかの遺伝子のバリエーションによって引き起こされます。これらの遺伝子のバリエーションにより、PI3K δ 経路が過剰に活性化され、免疫細胞が適切に成熟・機能しなくなり、免疫不全や免疫調節異常を引き起こします。^{1,2,3} APDSは、重度かつ反復性の副鼻腔・肺感染症、気管支拡張症、リンパ増殖、自己免疫性合併症、腸疾患など幅広い症状を特徴とし、これらの

症状は、他の原発性免疫不全症を含むさまざまな疾患にも関連しているため、APDS 患者は鑑別診断が困難であり、診断までの遅れが中央値で7年に及ぶことが報告されています⁶。APDSは進行性の疾患であるため、診断が遅れることにより、経時的に傷害が蓄積し、不可逆的な肺損傷やリンパ腫などが生じることもあります^{4,7}。APDSの確定診断方法は遺伝子検査です。APDSは世界中で100万人あたり約1~2人が発症する稀な疾患です⁸。

■ レニオリシブ (leniolisib) について

レニオリシブは、経口低分子のPI3K δ 阻害剤で、米国、英国、オーストラリア、およびイスラエルにおいて成人および12歳以上の小児患者におけるAPDSの最初でかつ唯一の治療薬として、また日本において成人および4歳以上の小児患者にAPDSを対象として承認されました。本剤は、重要な細胞内情報伝達物質として機能し、増殖、分化、サイトカイン産生、細胞生存、血管新生及び代謝といった多様な細胞プロセスを調節するホスファチジルイノシトール-3-4-5-三リン酸の生成を抑制します。海外の無作為化プラセボ対照第III相臨床試験において、APDS患者の免疫調節異常及び免疫不全状態を反映する2つの主要評価項目に対し、本剤投与群ではプラセボ投与群に対して統計学的に有意な改善がみられました。また、本剤の長期投与時の安全性と忍容性についてはオープンラベル継続投与試験において裏付けられています^{9,10}。本剤は現在、欧州、カナダを含む複数の国において承認審査が行われています。また、本剤は海外において免疫調節異常を伴う原発性免疫不全症候群(PID)を対象として、2つの第II相臨床試験が実施されています。さらに、日本国内においては1歳から6歳の小児APDS患者を対象とした小児用製剤を用いた臨床試験を実施中です。レニオリシブの安全性と有効性は、APDS以外の、免疫調節異常を伴うPIDでは確立されていません。

■ Pharming グループ (PHARMING Group N.V.) について

Pharming グループ (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) は、消耗性で致死的な希少疾病に苦しむ患者さんの生活を変革することを目指すグローバルな製薬企業です。Pharming グループは、低分子医薬品やバイオ医薬品を含む革新的な医薬品ポートフォリオの開発および事業化を行っています。Pharming グループはオランダのライデンに本社を置き、多くの従業員がアメリカに拠点を置いています。詳細については、www.pharming.com をご参照ください。

■ 株式会社オーファンパシフィックについて

オーファンパシフィックは、希少疾病治療薬の開発・製造販売を通じて希少疾病の患者さんに新たな治療薬を提供する日本の製薬企業です。「希少疾病を持つ患者さんにご家族に笑顔と幸せを届けます」を私たちの使命とし、“Leave No One Behind (誰一人取り残さない)”という決意で、患者数が非常に少ない希少疾病の治療薬(ウルトラオーファンドラッグ)の開発・提供にも積極的に取り組んでいます。オーファンパシフィックは、日本のCRO(医薬品開発受託機関)のパイオニア、かつリーディングカンパニーであるシミックホールディングス(<https://www.cmicgroup.com/>)の100%子会社であり、シミックグループの医薬品開発・製造・販売の経験とノウハウを最大限に活用し、1人でも多くの希少疾病の患者さんが治療薬にアクセスできるようにすることを目指しています。

詳細については、<https://www.orphanpacific.com/> をご参照ください。

■ 参考文献

1. Lucas CL, et al. Nat Immunol. 2014;15(1):88-97.
2. Elkaim E, et al. J Allergy Clin Immunol. 2016;138(1):210-218.
3. Nunes-Santos C, Uzel G, Rosenzweig SD. J Allergy Clin Immunol. 2019;143(5):1676-1687.
4. Coulter TI, et al. J Allergy Clin Immunol. 2017;139(2):597-606.
5. Maccari ME, et al. Front Immunol. 2018;9:543.
6. Jamee M, et al. Clin Rev Allergy Immunol. 2019; May 21.
7. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.
8. Vanselow S, et al. Frontiers in Immunology. 2023;14:1208567.
9. RAO VK, et al. Blood. 2023 Mar 2;141(9):971-983.
10. Rao VK, et al. J Allergy Clin Immunol 2024;153:265-74.

<本件に関するお問い合わせ>

株式会社オーファンパシフィック 経営企画部

info@orphanpacific.com

Tel.03-6779-8151