

2026 年 8 月 13 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)
薬価基準収載のお知らせ

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」) は、活性化 PI3K δ 症候群 (Activated Phosphoinositide 3-kinase Delta Syndrome、以下「APDS」) を効能又は効果とする選択的 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、以下「本剤」) について、2026 年 8 月 13 日付で薬価基準に収載されましたので、お知らせいたします。

本剤は、成人および 4 歳以上の小児の APDS 患者さんを対象とした治療薬として、2026 年 3 月 23 日付で日本における製造販売承認を取得しています。また、2023 年 5 月には希少疾病用医薬品の指定を受けています。

日本では、Pharming Group N.V. (本社：オランダ、以下「Pharming グループ」) とオーファンパシフィックと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本剤の製造販売承認申請を行い、製造販売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ける本剤の供給および流通・販売を行います。

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。免疫調節異常や反復感染症などを引き起こし、世界中で約 100 万人に 1~2 人が罹患していると推定されています。

本剤は、APDS の原因となる PI3K δ 経路を選択的に阻害し、疾患の根本的なメカニズムに作用する治療薬です。本剤を日本国内の患者さんにお届けすることにより、APDS 患者さんの治療および病状コントロールの改善に寄与することが期待されます。

オーファンパシフィック代表取締役社長の原 愛は、次のように述べています。

「このたび、日本の APDS 患者さんにジョエンジャ®錠をお届けできることを大変うれしく思います。APDS は非常にまれな疾患であり、その症状が多岐にわたることから、診断までに長い時間を要する場合があります。本剤の発売が、患者さんおよびご家族に新たな治療選択肢を提供し、より良い疾患管理につながることを願っています。オーファンパシフィックは、今後も Pharming グループおよび医療関係者の皆様と連携し、本剤の安定供給と適正使用の推進に努めてまいります。」

オーファンパシフィックは、「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」という使命の

もと、“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の開発・提供に取り組んでいます。今後も、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適切かつ安定的にお届けできるよう努めてまいります。

■ 製品概要

販売名	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)	
効能又は効果	活性化 PI3K δ 症候群	
用法及び用量	通常、成人及び 4 歳以上の小児には、体重に応じレニオリシブとして、以下の 1 回投与量を 1 日 2 回 12 時間毎を目安に経口投与する。	
	体重	1 回投与量
	13kg 以上 19kg 未満	20mg
	19kg 以上 27kg 未満	30mg
	27kg 以上 38kg 未満	40mg
	38kg 以上 45kg 未満	50mg
	45kg 以上	70mg
薬価	ジョエンジャ®錠 70mg：1 錠 133,176.50 円 ジョエンジャ®錠 30mg：1 錠 102,115.70 円 ジョエンジャ®錠 10mg：1 錠 27,077.90 円	
薬価基準収載日	2026 年 8 月 13 日	
製造販売元	株式会社オーファンパシフィック	

■ 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、世界中で約 100 万人に 1～2 人が罹患していると推定されています⁸。

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・機能しなくなることで、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ます。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認められるため、鑑別診断が難しく、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り、診断や適切な治療が遅れることにより、不可逆的な肺損傷やリンパ腫などが生じる場合があります^{4,7}。APDS の確定診断には遺伝子検査が用いられます。

■ レニオリシブ (leniolisib) について

レニオリシブは、経口低分子の選択的 PI3K δ 阻害剤です。PI3K δ 経路の過剰な活性化を抑制することにより、APDS の疾患メカニズムに作用します。

海外の無作為化プラセボ対照第 III 相臨床試験では、APDS 患者さんの免疫調節異常および免疫不全状態を反映する 2 つの主要評価項目について、本剤投与群でプラセボ投与群に対して統計学的に有意な改善が認められました。また、本剤の長期投与時の安全性および忍容性は、オープンラベル継続投与試験において検討されています^{9,10}。

レニオリシブは、日本において成人および 4 歳以上の小児の APDS 患者さんを対象として承認されています。

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

Pharming グループ (Euronext Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) は、消耗性で生命を脅かす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、米国および欧州に拠点を有しています。詳細については、www.pharming.com またはLinkedIn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株式会社 (<https://www.cmigroup.com/>) の 100% 子会社です。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、一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. Condcliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.

8. Vanselow S, et al. Front Immunol. 2023;14:1208567.
9. Rao VK, et al. Blood. 2023;141(9):971-983.
10. Rao VK, et al. J Allergy Clin Immunol. 2024;153:265-274.

<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