

2025年9月30日

各位

会社名 シンバイオ製薬株式会社  
代表者名 代表取締役社長兼 CEO 吉田 文紀  
(コード番号: 4582)  
問合せ先 IR室 (TEL.03-5472-1125)

## 注射剤布林シドフォビルが移植後アデノウイルス感染症を対象として 厚生労働省から希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）に指定

シンバイオ製薬株式会社（以下、当社）は、造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症を対象として開発中の注射剤布林シドフォビル（IV BCV）が、「臓器移植（造血幹細胞移植を含む）におけるアデノウイルス感染症の治療」を予定される効能・効果として、2025年9月29日付で厚生労働省より「希少疾病用医薬品」に指定されたことをお知らせします。

本感染症は、小児から成人まで幅広い年齢層で発症し、致死的な経過をたどることもある希少疾患です。確立された予防・治療法が存在せず、医療ニーズが極めて高いことから、有効な治療薬の開発が切に望まれています。

この状況下、当社は IV BCV について、米国で実施した第2相臨床試験で高い抗ウイルス効果を示し、POC（Proof of Concept：有効性の初期確認）を確立しました。この試験結果に基づき、現在、同疾患の患者を対象とする国際共同第3相臨床試験の開始に向け、まず欧州医薬品庁に対し治験申請を行い<sup>1</sup>、さらに日米英での治験開始に向けて準備を進めています。

今回の希少疾病用医薬品指定で、IV BCV には、研究開発費の助成や税額控除、治験相談および承認審査手数料の減額、承認後の薬価算定への優遇措置および最大10年間の再審査期間の延長といった包括的な支援措置が適用されます。これにより、臨床開発の加速と承認後の事業性向上が期待されます。

吉田文紀社長兼CEOは、「欧州に続く、このたびの日本における希少疾病用医薬品の指定は、深刻なアンメットメディカルニーズに対し、グローバルに治療選択肢を届けるうえで重要な一歩です。国際共同試験を着実に進めることで、世界の患者さんに一日も早く貢献できるよう取り組んでまいります。」と述べています。

なお、本件が2025年12月期業績に与える影響はありません。

以上

<sup>1</sup> 2025年6月30日付プレスリリース

## 注記

### ブリンシドフォビル (BCV) について

BCV は、米国で承認・販売されている抗ウイルス薬シドフォビル (CDV: 日本では未承認) の脂質抱合体です。BCV は新規の作用機序をもち、サイトメガロウイルス (CMV) やエプスタイン・バー・ウイルス (EBV) などのヘルペスウイルス、アデノウイルス、BK ウィルス、パピローマウイルス、エムポックスや天然痘ウイルスなどのオルソポックスウイルスといった広範な二本鎖 DNA ウィルス感染症に対して有効な治療薬となることが期待されています。なお、BCV には、CDV を含む他の抗ウイルス薬の重大な副作用である腎毒性や骨髄抑制は認められていません。

BCV は、EU (欧州連合) において免疫不全患者におけるアデノウイルス感染症及びサイトメガロウイルス感染症予防に対する希少疾病用医薬品指定を受けています。また、米国では免疫不全患者におけるアデノウイルス感染症に対してファストトラック指定<sup>\*</sup>されています。

<sup>\*</sup>アメリカ食品医薬品局 (FDA) が設けた制度で、重篤な疾患を治療し、いまだ満たされていない医療ニーズに応える医薬品の開発を促進し、その審査を迅速化するために設けられた制度です。

### 希少疾病用医薬品の指定について

厚生労働省の「希少疾病用医薬品指定制度」は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないことにより、十分にその研究開発が進んでいない医薬品等の開発を支援することを目指して実施されている制度です。

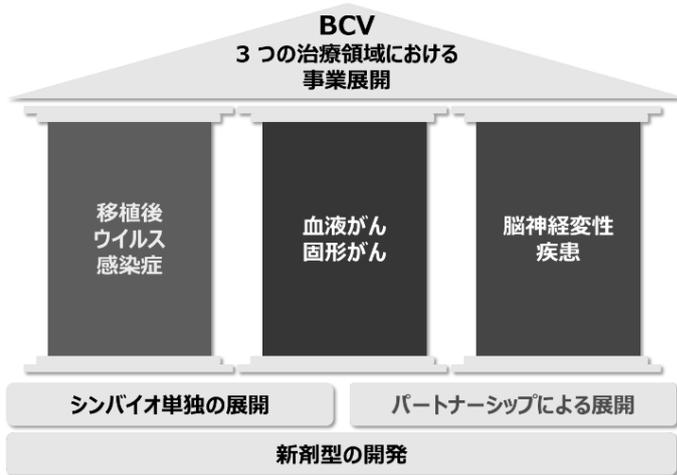
この度、IV BCV は、医薬品医療機器等法第 77 条の 2 に基づき、対象患者数が国内において 5 万人未満であること、対象疾患が重篤な疾患又は感染症であり医療上特にその必要性が高いなどの要件に該当するものとして、薬事審議会の諮問を受け、厚生労働大臣により指定されました。

「希少疾病用医薬品指定制度」の詳細は、厚生労働省の以下のページでご覧いただけます。

<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>

### 3 本の治療領域を柱とした BCV の事業戦略

シンバイオは 2019 年 9 月、BCV のグローバルライセンスを取得して以来、3 つの治療領域において、そのポテンシャルを掘り起こすことを目的として世界最高レベルの研究機関と共同研究を進めてきました。現在、対象疾患領域として、造血幹細胞移植後のウィルス感染症領域をはじめ、第 2 の柱として血液がん・固形がん領域、第 3 の柱として脳神経変性疾患領域の 3 治療領域を中心に経営資源を集中して開発を進め、グローバルに事業展開をすることにより BCV の事業価値の最大化を目指しています。すでに、第 1 の柱として、造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症における国際共同第 3 相臨床試験の年内開始を目標として準備を進めています。また、第 2 の柱である血液がん領域の NK/T



細胞リンパ腫においては、第 1b/2 相臨床試験を開始し、現在、症例の組入れを進めており、2028 年中の承認申請を目指しています。また固形がん領域においても、脳腫瘍および頭頸部がんをはじめとして臨床試験開始に向けて検討を進めております。脳神経変性疾患においては、今後、多発性硬化症 (MS) 並びに進行性多巣性白質脳症 (PML) を対象として臨床試験を進める予定です。

(注) 2025 年 9 月 29 日付「ブリンシドフォビルの悪性脳腫瘍に対する有効性を日本癌学会学術総会で発表」における注記 第 2 段落 7 行目の記載につきまして、お詫びとともに下記の訂正（下線部分）をさせていただきます。

（正）造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症における国際共同第 3 相臨床試験の年内開始を目標として準備を進めています。

（誤）造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症における国際共同第 3 相臨床試験を欧州で開始しました。