



2023年12月18日

各 位

ダイドファーマ株式会社

アミファンプリジンリン酸塩 (3,4-ジアミノピリジン) の ランバート・イートン筋無力症候群 (LEMS) に対する承認申請について

ダイドファーマ株式会社（本社：大阪市北区、代表取締役社長：稲岡 靖規、以下「ダイドファーマ」という。）は、ランバート・イートン筋無力症候群（以下「LEMS」という。）への効果が期待される治療薬（開発番号：DYD-301、一般名：アミファンプリジンリン酸塩）の承認申請を本日、厚生労働省に行いましたのでお知らせいたします。

アミファンプリジンリン酸塩は、ダイドファーマが、Catalyst Pharmaceuticals, Inc.（以下「カタリスト社」という。）から、日本国内での LEMS を対象とした治療薬の共同独占的開発・製造販売実施権および独占的商品化実施権の許諾を取得し、日本における治療薬の開発を行っているものです。

アミファンプリジンリン酸塩は、すでに欧米において LEMS を適応症として承認されている医療用医薬品で、カタリスト社が米国で Firdapse® という商品名で販売しています。

（ご参考）

ランバート・イートン筋無力症候群について

自己免疫性・神経筋接合部疾患で、神経終末からのアセチルコリン放出量減少により近位筋の筋力低下、自律神経症状などの症状を呈しています。悪性腫瘍に合併、あるいは腫瘍の発症に先行する傍腫瘍性神経症候群の1つです。

DYD-301 (アミファンプリジンリン酸塩 10mg 錠)について

DYD-301 (アミファンプリジンリン酸塩) は、経口の K^+ (カリウムイオン) チャネル阻害剤であり、神経筋接合部の前シナプス膜にある膜電位依存性 K^+ チャネルを阻害することで、細胞膜の脱分極を引き起こし、膜電位依存性 Ca^{2+} (カルシウムイオン) チャネルを開口させ、細胞内への Ca^{2+} の流入を促進することにより、アセチルコリン (ACh) を含むシナプス小胞のエキソサイトーシスを誘発して、シナプス末端からシナプス間隙への ACh の放出を促進、神経・筋伝達を向上させることで筋肉の機能を改善します。アミファンプリジンリン酸塩は、厚生労働省から希少疾病用医薬品の指定を受けており、ヨーロッパおよびカナダにおいては、既に成人 LEMS 患者、米国においては、成人及び 6~17 歳の小児 LEMS 患者の治療薬として承認されています。

カタリスト社 (Catalyst Pharmaceuticals) について

カタリスト社は米国フロリダ州 Coral Gables に本社を置くバイオ製薬企業であり、神経筋及び神経系の希少疾患に対する画期的な治療法の開発と商業化に焦点を当てております。カタリスト社は、2018 年 11 月に FDA (アメリカ食品医薬品局) から成人の LEMS 治療薬として amifampridine の承認を取得しました。

カタリスト社は患者さんのためをモットーに、希少な神経学のおよびてんかん性疾患に対処する革新的なファーストインクラスの薬剤の開発と商業化に取り組んでいます。カタリスト社の米国での主要製品は、FIRDAPSE® (アミファンプリジン) 10mg 錠であり、これは成人および 6 歳から 17 歳までの小児のランバート・イートン筋無力症候群 (LEMS) の治療に承認されています。2023 年 1 月には、カタリスト社は FYCOMPA® (ペランパネル) CIII の米国での商業権を取得しました。本剤は 4 歳以上のてんかん患者、2 次的な全身発作の有り無しに関わらず部分発作を他剤で治療している患者、12 歳以上のてんかん患者で初発の全身硬直間代性発作を他剤で治療している患者に対しての治療薬として承認されています。さらに、カナダの国立医薬品規制当局である Health Canada は、カナダでの成人 LEMS 患者に対する治療に FIRDAPSE の使用を承認しています。また、カタリスト社は 2023 年 7 月 18 日、デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する新規コルチコステロイド治療薬である AGAMREE® (バモロロン; 経口懸濁液 40mg/mL) の北米における独占的ライセンスを取得しました。AGAMREE®は FDA の希少疾病用医薬品およびファースト・トラックの指定を受けており、2023 年 10 月 26 日に米国での販売が承認されました。24 年 1Q に発売の予定です。

カタリスト社の詳細については、同社ウェブサイト www.catalystpharma.com を、FIRDAPSE®の処方および安全性情報については www.firdapse.com を、FYCOMPA® の使用上の注意を含む処方全般については www.fycompa.com を、AGAMREE® の処方全般については <https://www.agamree.com/> を、ご覧ください。

ライセンス契約に関するニュースリリースについて

カタリスト社とのライセンス契約に関しては、2021 年 6 月 28 日に公表したニュースリリースをご参照ください。

[連結子会社によるライセンス契約締結のお知らせ](#)

以上

(ご参考)

ランバート・イートン筋無力症候群について

自己免疫性・神経筋接合部疾患で、神経終末からのアセチルコリン放出量減少により近位筋の筋力低下、自律神経症状などの症状を呈する。悪性腫瘍に合併、あるいは腫瘍の発症に先行する傍腫瘍性神経症候群の1つ。

Catalyst Pharmaceuticals について

カタリスト社は米国フロリダ州 Coral Gables に本社を置くバイオ製薬企業であり、神経筋及び神経系の希少疾患に対する画期的な治療法の開発と商業化に焦点を当てている。カタリスト社は、2018年11月にFDA（アメリカ食品医薬品局）から成人のLEMS治療薬として amifampridine の承認を取得した。