カナキヌマブ（開発コード：ACZ885）は，ヒトインターロイキン-1β（IL-1β）に対する遺伝子組換えヒト IgG1 モノクローナル抗体であり，IL-1β に結合し IL-1β の IL-1β 受容体への結合を阻害することにより，その生物活性を中和する。日本での製品名はイラリス（Ilaris）として，2011 年 9 月にクリオピリン関連周期性症候群（cryopyrin-associated periodic syndrome，CAPS），2016 年 12 月に TNF 受容体関連周期性症候群，高 IgD 症候群，家族性地中海熱，2018 年 7 月に全身型若年性特発性関節炎，2025 年 3 月に成人発症スチル病に対する治療薬として承認を取得した。今回，シュニッツラー症候群に対する治療薬としての効能追加申請を行う。シュニッツラー症候群は，慢性蕁麻疹様皮疹と単クローン性ガンマグロブリン血症を特徴とする希少疾患である。その病因はいまだ不明であるが，自己炎症疾患の一つである CAPS と臨床症状に類似点があり，シュニッツラー症候群も自己炎症疾患であると考えられている（2.5-1.1.1 項）。

非臨床薬理試験として，カナキヌマブを用いて適切に評価できるシュニッツラー症候群の動物モデルは確立されていないことから，新たに「効力を裏付ける試験」を実施していない。

一方で，これまでの臨床での知見として，シュニッツラー症候群にカナキヌマブをはじめとする IL-1 阻害薬が著効することが報告されている（2.5-1.1.2 項）。さらに，国立大学法人京都大学が実施した第 II 相医師主導治験（IACT21071 試験）の結果では，カナキヌマブ投与によるシュニッツラー症候群の臨床症状の緩和とこの持続が示された（2.5-6.4 項）。

先の承認申請時（CAPS 等）に，カナキヌマブの薬理，薬物動態及び毒性に関する非臨床試験成績を提出しているため，今回の効能追加申請に際して新たに提出する非臨床試験の資料はない。