レニオリシブリン酸塩

ジョエンジャ®錠 10 mg
ジョエンジャ®錠 30 mg
ジョエンジャ®錠 70 mg

第 2 部 CTD の概要

2.2 緒言

株式会社オーファンパシフィック

2.2 緒言

活性化ホスホイノシチド3キナーゼδ症候群（APDS）は希少な原発性免疫不全症であり、患者は再発性の重度感染症、リンパ球増殖、自己免疫疾患及び造血器悪性腫瘍などの症状を呈する。APDS 患者では、ホスホイノシチド 3 キナーゼ δ（PI3Kδ）をコードする遺伝子の変異により、PI3Kδ シグナルが過活性化される。この結果、ホスファチジルイノシトール-3,4,5-三リン酸（PIP3）の産生が増加し、リン酸化された Protein kinase B（pAkt）の活性が上昇する。したがって、PI3Kδ経路の阻害剤は免疫細胞の過剰な活性を抑制することで、APDS の効果的な治療薬となると考えられる。

レニオリシブリン酸塩は、PIP3 の産生を阻害する経口投与可能な低分子の p110δ 阻害剤であり、APDS を対象疾患として開発されてきた。

レニオリシブリン酸塩は、非臨床試験において強力かつ選択的な PI3Kδ 阻害作用を示した。また、APDS 患者を対象とした国際共同臨床試験及び日本人患者を対象とした臨床試験により、その有効性と安全性が確認された。

これらの結果を踏まえ、成人又は 4 歳以上の小児における「活性化 PI3Kδ 症候群」を予定する効能又は効果として承認申請する。