2026年11月16日

各 位

会社名　杏林製薬株式会社
代表者名　代表取締役社長 CEO　荻原　豊
コード番号　4569　東証プライム
問合せ先　経営企画部 部長　菊池　章太
電　話　03－6374－9702

レット症候群治療薬「DAYBUE® STIX」（一般名：Trofinetide）の日本における独占的販売契約締結について

当社は、Acadia Pharmaceuticals Inc.（本社：米国 サンディエゴ、CEO：Catherine Owen Adams、以下、Acadia社）と、Acadia社が権利を保有するレット症候群治療薬「DAYBUE STIX」（一般名：Trofinetide、以下、本剤）について、この度、日本における独占的な販売契約を締結しましたのでお知らせします。

本契約に基づき、当社はレット症候群を対象とする本剤の日本における販売に関する独占的権利を取得します。当社はAcadia社に対して、契約一時金として30百万米ドルを支払い、薬価収載及び一定の正味売上高の達成によりマイルストンペイメントとして最大45百万米ドル等を支払います。

Trofinetideは、神経系の正常な発達と機能に重要なIGF-1（インスリン様成長因子1）のN末端ドメインに由来する内因性トリペプチドGPE（グリシン-プロリン-グルタミン酸）の合成アナログです。米国では2023年以降、成人及び2歳以上の小児患者におけるレット症候群治療に適応をもつDAYBUE、DAYBUE STIXとして販売されています。本剤は、Acadia社が第3相臨床試験を完了しており、米国で実施したLAVENDER試験と一貫した結果が確認されています。なお、日本において、希少疾病用医薬品の指定を受けています。今後、当社が製造販売承認申請を行い、薬価収載後にはAcadia社から製品供給を受けて独占的に販売を行います。

当社は、医療ニーズに応える価値の高い新薬の提供を目指し、中期経営計画「Vision 110 －Stage2－」において「積極的な導入投資による開発パイプラインの拡充」を掲げています。本契約により、新たな治療選択肢を一日も早く提供できるよう開発を進め、人々の健康に貢献する企業を目指します。

2027年3月期の連結業績への影響につきましては、通期連結業績予想に織り込み済みであり、本契約によりAcadia社に支払う契約一時金を当第3四半期の販売費及び一般管理費（研究開発費）に計上予定です。

なお、当社とAcadia社については、資本関係、人的関係、取引関係はなく、関連当事者へも該当しません。

以 上

【参考資料】

DAYBUE®について

Trofinetide は、神経系の正常な発達と機能に重要なホルモンである IGF-1（インスリン様成長因子 1）の N 末端ドメインに由来する内因性トリペプチド GPE の合成アナログです。レット症候群患者では、脳内において IGF-1 のシグナル伝達やシナプスの機能障害が生じており、これが神経機能に影響を与えていると考えられています。2023 年に米国で成人及び 2 歳以上の小児患者におけるレット症候群に適応をもつ DAYBUE として上市された後、カナダでも発売されています。さらに、EU では DAYBU の製品名で承認を取得しています。加えて、2026 年には米国において、Trofinetide の散剤である DAYBUE STIX が新たに上市されています。

LAVENDER™試験について

レット症候群の 5 歳から 20 歳の女児及び女性 187 名を対象に、Trofinetide の有効性及び安全性をプラセボと比較評価した第 3 相無作為化二重盲検プラセボ対照臨床試験です。主要評価項目は、12 週時点の RSBQ 合計スコアのベースラインからの変化量及び CGI-I スコアであり、いずれもプラセボと比べ統計学的に有意な改善を示しました。また、重要な副次評価項目である 12 週時点における CSBS-DP-IT チェックリスト - 社会性複合スコアのベースラインからの変化についても、プラセボと比較して統計学的に有意な結果を示しました。

Ref.) NCT04181723, J L. Neul, et al., *Nature Medicine*, 29(6), 1468-1475 (2023)

RSBQ (Rett Syndrome Behavior Questionnaire): 全体的な気分や呼吸の問題、手の動きなど、レット症候群の様々な症状を介護者が評価する 45 項目の評価尺度

CGI-I (Clinical Global Impression–Improvement)：症状が改善／悪化したかを医師が評価する 7 段階の尺度

CSBS-DP-IT (Communication and Symbolic Behavior Scales Developmental Profile™ Infant Toddler)：12～24 か月の幼児のコミュニケーションと前言語スキルを評価するための標準化された尺度。発達遅延のある年長の子供にも使用可能

レット症候群について

レット症候群は、乳幼児期に症状が現れる神経系を主体とした発達障害です。日本国内では 10,000 人の女児に 0.9 人の有病率と報告されており、発症のほとんどを女児が占めています。レット症候群の小児は一般に、生後 6～18 か月頃までは一見正常な発達を示しますが、その後、発達の遅延や停滞が見られます。これに続き、典型的な経過では、患児が獲得したコミュニケーション能力や意図的に手を使う機能が失われる「退行期」を迎えます。その後、認知的な関心にわずかな回復が見られる「発達停滞期」を迎えることがありますが、身体の運動能力は重度に低下したままとなります。年齢を重ねるにつれて運動機能がさらに低下し、動きが減り、足や手を使わないために細くなり車いすが必要となります。筋緊張が亢進し、ジストニアと言われる不随意運動が著明になり、これが生涯にわたって続く場合があります。

レット症候群の約 95%の症例は、Methyl-CpG-binding protein 2 遺伝子（MECP2）の変異によって引き起こされます。前臨床研究から、MeCP2 タンパク質の機能不全がシナプスの機能障害につながると考えられており、こうしたシナプスの機能障害がレット症候群の症状と関連している可能性があります。レット症候群の症状には、手を揉む・叩くといった特有の動作を繰り返す症状（常同運動）の出現や、歩行異常なども含まれ、多くは 24 時間体制の介護を必要とします。レット症候群は身体的、心理的、社会的、経済的に大きな負担を伴い、患者本人と介護者の双方の QOL に著しい影響を与えます。

Acadia Pharmaceutical, Inc.について

Acadia 社（Nasdaq: ACAD）は、科学の可能性を確かなイノベーションへと変え、十分な治療が届いていない世界中の神経疾患や希少疾患のコミュニティに変化をもたらすことに全力で取り組んでいます。Acadia 社の製品ポートフォリオには、パーキンソン病に伴う精神病症状およびレット症候群に対して FDA が唯一承認した治療薬が含まれています。さらに、アルツハイマー病に伴う精神症状やレビー小体型認知症に伴う精神症状を対象とした中・後期臨床開発プログラムをはじめ、患者さんのニーズに応える初期段階のプログラムなど、強固で多様なパイプラインを通じて次世代の画期的な治療薬の開発を進めています。Acadia 社は、患者さんの明日を変える存在となるために挑み続けています。
詳細については、https://acadia.com/をご覧ください。