

平成 28 年度 医療研究開発推進事業費補助金
成果報告書

I. 基本情報

事業名：（日本語）創薬支援推進事業・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業
（英語）Project Promoting Support for Drug Discovery “Support Program for Orphan drug prior to the Designation”

補助事業課題名：（日本語）ポリ硫酸ペントサンナトリウム (NaPPS)
（英語）Pentosan polysulfate sodium (NaPPS)

補助事業担当者 （日本語）代表取締役社長 松本 正

所属 役職 氏名：（英語）Tadashi Matsumoto, Ph.D., MBA President & CEO

実施期間：平成 28 年 10 月 1 日 ～ 平成 29 年 3 月 31 日

II. 成果の概要（総括研究報告）

・ 補助事業代表者による報告の場合

（和文）

ムコ多糖症における骨・軟骨症状の改善は、酵素補充療法を含めた治療において、未だ十分な治療効果が得られておらず、ポリ硫酸ペントサンナトリウム（NaPPS）の治療効果が期待されている。補助事業者は、NaPPS の希少疾病用医薬品の指定を目指し、今期下記の取り組みを実施した。

1. NaPPS の医薬品製造販売承認申請を睨んで、市販用製剤の規格・試験法に関して医薬品医療機器総合機構との対面助言を実施して、その実施内容を確認した。
2. NaPPS の医薬品製造販売承認申請を睨んで、NaPPS の追加安全性試験（特に薬物毒性動態試験）の内容に関して医薬品医療機器総合機構との対面助言を実施して、その実施内容を確認した。
3. Phase II/III 試験向け製剤及び市販用製剤のプロセスバリデーションを目的として、新製剤の GMP 製造（10,000 バイアル/バッチ）を 1 ロット試験製造した。

（英文）

Among the symptoms with MPS, bone-cartilage symptoms are still unmet area. And they might expect that NaPPS would be effective in those bone-cartilage symptoms. So, we conducted the following activities in the period.

1. On the purpose of NDA filing of NaPPS with the indication of MPS, we have conducted PMDA consultation regarding specification and test studies of our new formulation product.
2. On the purpose of NDA filing of NaPPS with the indication of MPS, we have conducted PMDA consultation regarding additional safety studies, in particular toxico-kinetics studies.
3. For usage of our next MPS phase II/III clinical study and process validation of NaPPS products for market, we conducted one lot of GMP manufacturing (10,000 vials/batch).

III. 成果の外部への発表

(1) 学会誌・雑誌等における論文一覧（国内誌 0 件、国際誌 0 件）

(2) 学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表
今年度はなし

(3) 「国民との科学・技術対話社会」に対する取り組み
今年度はなし

(4) 特許出願
今年度はなし