



Press Release

2026年5月19日

報道関係各位

本資料は、ルンドベック（デンマーク本社）が2026年5月18日（現地時間）に発表したものを日本語に翻訳・要約・編集および日本の状況を追記し、5月19日に配信するものです。日本では未承認の製品が含まれます。資料の内容および解釈については英文オリジナルが優先されます。英文オリジナルは、[Lundbeck receives orphan drug designation in Japan for asedebart for the treatment of patients with congenital adrenal hyperplasia and Cushing's disease - H. Lundbeck A/S](#)をご参照ください。

ルンドベックが開発中のLu AG13909、日本における先天性副腎過形成症およびクッシング病に対する希少疾病用医薬品指定を取得

- 先天性副腎過形成症（CAH）およびクッシング病（CD）は、脳で産生される副腎皮質刺激ホルモン（ACTH）の過剰を特徴とする希少疾患です^{1,2}。
- 現行の治療法では、疾患コントロールが不十分であることや治療関連の合併症といった課題があります^{3,4}。
- Asedebart（Lu AG13909）は、疾患の根本的な病態を標的として開発中の新規抗ACTHモノクローナル抗体です。
- 現在、先天性副腎過形成症（CAH）およびクッシング病（CD）における有効性と安全性を評価するPoC試験が進行中です。

デンマーク・ヴァルビー、[2026年5月18日] – ルンドベックは本日、asedebart（Lu AG13909）が先天性副腎過形成症（以下「CAH」）およびクッシング病（以下「CD」）治療を対象として、厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けたことをお知らせします。

CAHとCDは、発症機序や臨床的特徴は異なるものの、副腎皮質刺激ホルモン（以下「ACTH」）の上昇という共通の基盤となるメカニズムを有する希少疾患です^{1,2}。CAHではコルチゾール産生障害によりACTHが慢性的に上昇し、副腎アンドロゲンの過剰産生を引き起こすため、生涯にわたってホルモン補充療法が必要です¹。一方、CDは下垂体腺腫（腫瘍）によるACTHの過剰分泌が原因で、慢性的なコルチゾール過剰（高コルチゾール血症）を引き起こします²。

CAHは世界で出生約14,000～18,000人に1人の割合で発症し⁵、日本での発症率は18,000から19,000人に1人と推定されています⁶。クッシング病の有病率は人口10万人あたり約2.2例⁷、日本での患者数は411⁸から450⁹人と推計されています。両疾患はいずれも代謝性、心血管系、神経精神系の合併症を含む大きな疾患負荷を伴い、罹患率および死亡率の上昇と関連しています^{3,10}。現在の治療はホルモンバランスの是正を目的としていますが、有効性や忍容性にばらつきがあるなどの課題があります^{3,4}。

ルンドベックの研究開発担当エグゼクティブ・バイスプレジデントであるJohan Luthmanは次のように述べています。「CAHおよびCDは、患者さんの生活に深刻な影響を及ぼし得る重篤な慢性疾患です。asedebartの治療プログラムは、希少疾患および脳機能と関連する内分泌疾患における取り組みをさらに強化していくというルンドベックのコミットメントを示しています。また、本プログラムは、疾患の根本的な生物学的メカニズムを直接標的とする当社のアプローチを体現しています。重点市場の一つである日本においてasedebartが希少疾病用医薬品指定を取得したこと、そして先天性副腎過形成（CAH）およびクッシング病（CD）を抱える患者さんの大きなアンメットメディカルニーズに応える可能性があることを、大変嬉しく思います。」

AsedebartはACTHを標的とする新規モノクローナル抗体であり、ACTH上昇を特徴とする疾患に対する画期的な治療となる可能性を有しています。疾患の根本的なメカニズムに作用することで、CAHの新たな治療アプローチを提供することが期待されています。asedebart（開発コード：Lu AG13909）は、最近、国際一般名（INN）が付与され、欧州連合および米国の両方においてCAHに対する希少疾病用医薬品指定を取得しました。ルンドベックは現在、古典型CAHおよびCDを有する患者さんを対象に、asedebartの有効性および安全性を評価するPoC試験を実施しています。

Asedebartは開発中の医薬品であり、世界のいずれの規制当局からも販売承認を取得しておらず、その有効性および安全性は確立されていません。

Asedebartについて

Asedebartは、高い親和性でACTHを特異的に認識するヒト化抗ACTHモノクローナル抗体です。副腎においてACTHがメラノコルチン2受容体に結合するのを阻害し、ACTHの神経ホルモンシグナル伝達を抑制します。この作用により、副腎から分泌される糖質コルチコイド、ミネラルコルチコイド、およびアンドロゲンの産生が低下します^{11,12}。

ACTHは副腎ステロイド生合成において重要な役割を担っており¹³、ACTH上昇を特徴とする疾患における有望な治療標的と考えられています⁹。このような背景から、新規分子であるLu AG13909は、慢性的なACTH上昇に関連する疾患に対する新たな治療選択肢となる可能性があります。

先天性副腎過形成症（CAH）について

古典型先天性副腎過形成症（CAH）は、世界で出生約14,000～18,000人に1人の割合⁵で発症する常染色体劣性遺伝疾患です¹⁴。主に21-水酸化酵素欠損による酵素異常が原因で、副腎ステロイド合成が障害され、コルチゾールおよびアルドステロンの欠乏を引き起こします。21-水酸化酵素欠損症の患者は、副腎クリーゼと呼ばれる生命を脅かす状態に陥るリスクがあり、生涯にわたり死亡率上昇の一因となります¹⁵。生理的な糖質コルチコイド補充とアンドロゲン過剰のコントロールのバランスを取ることは依然として難しく、長期的な過剰な糖質コルチコイド投与によるリスクも存在します¹⁶⁻¹⁸。

クッシング病（CD）について

クッシング病（CD）は、ACTHを過剰分泌する下垂体腺腫によって引き起こされる希少な内分泌疾患であり、慢性的なコルチゾール過剰を特徴とします²。この疾患は高い罹患率と死亡率に関連し、患者は多様な身体的および神経精神症状を呈することがあります¹⁰。第一選択治療は腫瘍の外科的切除ですが、すべての患者さんに適応されるわけではなく、持続的寛解が得られない場合もあります。現行の薬物療法は有効性にばらつきがあり、安全性や忍容性の面でも課題があることから、有効かつ忍容性の高い治療法に対するアンメットメディカルニーズが依然として存在しています。

References:

1. Witchel SF. J Pediatr Adolesc Gynecol. 2017;30(5):520–534
2. Lacroix A, Feelders RA, Stratakis CA, et al. Lancet. 2015;386(9996):913–927
3. Arlt W, Willis DS, Wild SH, et al. J Clin Endocrinol Metab. 2010;95(11):5110–5121
4. Gadelha M, Vieira Neto L. Clin Endocrinol (Oxf). 2014;80(1):1–12
5. Claahsen-van der Grinten HL, et al. Endocr Rev 2022;43(1):91-159
6. shii T, Kashimada K, Amano N, Takasawa K, Nakamura-Utsunomiya A, Yatsuga S, et al. Clinical guidelines for the diagnosis and treatment of 21-hydroxylase deficiency (2021 revision). Clin Pediatr Endocrinol. 2022; 31(3): 116-143.
7. Giuffrida G, et al. J Endocrinol Invest. 2022;45(6):1235–1246
8. Hattori Y, Tahara S, Aso S, Matsui H, Fushimi K, Yasunaga H, et al. Pituitary surgery's epidemiology using a national inpatient database in Japan. Acta Neurochir (Wien). 2020; 162(6): 1317–1323.
9. Takayanagi R, Miura K, Nakagawa H, Nawata H. Epidemiologic study of adrenal gland disorders in Japan. Biomed Pharmacother. 2000; 54 Suppl 1: 164s–168s.
10. Sharma ST, Nieman LK, Feelders RA. Pituitary. 2015;18(2):188–194
11. Lundbeck. Data on file
12. Feldhaus AL, et al. Endocrinology 2017;158(1):1-8
13. Xing Y, et al. J Endocrinol 2011;209(3):327-35
14. Merke DP, Auchus RJ. N Engl J Med 2020;383(13):1248-61
15. Lousada LM, et al. Arch Endocrinol Metab 2021;65(4):488-94
16. Han TS, et al. Nat Rev Endocrinol 2014;10(2):115-24
17. Pofi R, et al. Clin Endocrinol (Oxf) 2023
18. Auchus RJ, et al. Front Endocrinol (Lausanne) 2022;13:1005963

<将来予測に関する記述>

本リリースには、新製品の導入、製品の承認、財務実績など、将来の出来事に関する当社の予想または予測を提供する、将来の見通しに関する記述が含まれています。将来の見通しに関する記述には、将来の結果、業績または成果を予測、予想、示唆または暗示するあらゆる記述が含まれ、「予想」、「期待」、「見込み」、「予定」、「予測」、「計画」またはそのような言葉の変形や類似の意味を持つ他の言葉が含まれますが、これらに限定されるものではありません。本リリースに含まれる過去の事実に関する記述以外のすべての記述（当社の財政状態、事業戦略、将来の事業運営に関する経営陣の計画および目標（当社製品に関する開発計画および目標を含むがこれらに限定されない））は、将来の見通しに関する記述です。

このような将来の見通しに関する記述には、既知および未知のリスク、不確実性、およびその他の要因が含まれており、当社の実績の結果、業績、または実績が、このような将来の見通しに関する記述によって明示または暗示される将来の結果、業績、または実績と大きく異なる可能性があります。将来の業績に影響を与える可能性のある要因には、金利や為替レートの変動、開発プロジェクトの遅延や失敗、生産や流通の問題、予期せぬ契約違反や解除、 Lundbeck製品に対する当局の決定や市場情勢による価格低下、競合製品の導入、Lundbeckが新製品や既存製品の商業的成功、製造物責任やその他の訴訟へのリスク、償還規則や法律および関連する解釈の変更、コストや経費の予期せぬ増加などが含まれます。

本リリースおよびLundbeckを代表して行われた口頭発表における将来の見通しに関する記述は、本リリースの日付時点のもので、Lundbeckは、適用される法律または適用される証券取引所の規則によって義務付けられている場合を除き、本リリースまたはLundbeckを代表して行われた口頭発表における今後の見通しに関する情報または記述の更新または見直しを行う義務を負うものではありません。

<Lundbeck (H.Lundbeck A/S) について>

Lundbeckは、脳の健康に特化したバイオ医薬品会社です。70年以上の神経科学の経験を持ち、神経疾患や精神疾患を患う人々の生活を改善することに尽力しています。

脳疾患は世界中の多くの人々に影響を与え、その影響は社会全体に及びます。脳の生物学に関する理解が急速に進む中、私たちは新しい治療の機会を探求し、脳の健康を向上させる責任を果たしています。

私たちは、Focused Innovatorとして、最も複雑な神経学的課題に取り組むための研究開発プログラムに注力しています。精神医学と神経学の強力な基盤の上に、治療法がほとんどない、または全くない人々を対象とした革新的な医薬品を開発し、ニューロスペシャリティやニューロレアの分野に拡大しています。

私たちはスティグマと闘い、健康における公平性を改善するために行動しています。患者さん、そのご家族、そして社会全体に対して貢献することで、株主に長期的な価値を提供することを目指しています。

Lundbeckは、20か国以上で約5,000人の従業員を擁し、製品は80か国以上で販売されています。詳細については、www.lundbeck.com または [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/lundbeck) をご覧ください。

<Lundbeck・ジャパンについて>

Lundbeck・ジャパンは、2001年に日本法人を設立、2019年にコマース本部を構築し営業活動を開始いたしました。精神・神経疾患領域に特化した製薬企業として、グローバルで蓄積した豊富な知識と知見をもとに、日本においても患者さんの治療向上とより良い生活に貢献するために取り組んでいます。Lundbeck・ジャパンに関する詳しい情報は、www.lundbeck.co.jp をご覧ください。

【本件に関するお問い合わせ先】

Lundbeck・ジャパン株式会社 コミュニケーション&パブリックアフェアーズ 岡 幸恵

Email: yuok@lundbeck.com Tel: 070-7538-5301 Fax: 03-5733-8691