

報道関係者各位

2026 年 8 月 25 日
リズムファーマ株式会社

本資料は、米国 **Rhythm Pharmaceuticals Inc.** が 2026 年 8 月 24 日（現地時間）に発表したプレスリリースを邦訳して発表するものです。詳細については、オリジナルの英文が優先します。

**Rhythm Pharmaceuticals、本邦初の後天性視床下部性肥満治療薬として
イムシブリー®（一般名：セトメラノチド）の製造販売承認を取得**

-- 日本国内の後天性視床下部性肥満の患者さんは約 5,000～8,000 人と推定 --

-- 薬価収載後 2026 年内の発売を見込む --

ボストン、2026 年 8 月 24 日 – 希少な神経内分泌疾患と共に生きる患者さんの生活の変革に注力するグローバルバイオ医薬品企業である **Rhythm Pharmaceuticals**（Nasdaq: RYTM、以下 **Rhythm 社**）は、本日、後天性視床下部性肥満の治療を目的としてイムシブリー®（一般名：セトメラノチド）の製造販売承認を厚生労働省より取得したことをお知らせします。

メラノコルチン 4 型受容体（MC4R）アゴニストである「イムシブリー®」は、2025 年 3 月に厚生労働省より希少疾病用医薬品に指定されており、日本における後天性視床下部性肥満の治療薬としては初の承認となります。**Rhythm 社**は、薬価収載を経て、2026 年末までに「イムシブリー®」を発売する予定です。

Rhythm 社の上級副社長兼インターナショナルリージョン責任者である **Yann Mazabraud** は、「後天性視床下部性肥満は、視床下部の損傷後に発症する **MC4R** 経路の機能障害を伴う複雑な疾患であり、過食および急激かつ持続的な体重増加を引き起こし、生活の質に重大な影響を及ぼします。今回の承認は、日本における後天性視床下部性肥満の患者さんの治療にとって重要な進展です。日本の患者さんや医療関係者の皆様、ならびに政府関係者の皆様の協力に感謝するとともに、年内に後天性視床下部性肥満の患者さんにイムシブリー®をお届けできることを楽しみにしています」と述べています。

今回の承認は、後天性視床下部性肥満の患者さん 142 人を対象としたセトメラノチドの国際共同第 III 相試験「**TRANSCEND**」の良好な結果に裏付けられています。このデータセットには、主要解析コホート 120 人に加え、日本人コホート 12 人および追加登録された海外症例 10 人が含まれています。本国際共同試験は主要評価項目を達成し、**BMI 減少率**のプラセボ調整後の差は**-18.8%**で、統計学的に有意でした。第 III 相 **TRANSCEND** 試験の結果は、先日 [The New England Journal of Medicine \(NEJM\)](#) に掲載されました。

後天性視床下部性肥満について

Rhythm社は、日本の後天性視床下部性肥満の患者さんの数を5,000人から8,000人と推定しています。後天性視床下部性肥満は、視床下部の物理的損傷または構造異常により急激かつ持続的な体重増加を特徴とする希少疾患です。視床下部の損傷はα-メラノサイト刺激ホルモン(α-MSH)産生の低下およびMC4R経路のシグナル伝達障害を引き起こす可能性があります。MC4R経路は空腹感、満腹感、エネルギーのバランスを調節する主要なシグナル伝達経路であり、その結果として体重に影響を与えます。本疾患は、頭蓋咽頭腫、下垂体腫瘍、頭蓋内胚細胞腫瘍の増大または治療後に多く発症します。その他の損傷原因としては、外傷性脳損傷、脳卒中、感染または炎症などが挙げられます。MC4R経路の障害により、患者さんは多くの場合過食および／またはエネルギー消費量の低下を伴い、急激かつ持続的な体重増加を呈します。後天性視床下部性肥満は、視床下部損傷後わずか6ヶ月で発症することがあります。

Rhythm Pharmaceuticals について

Rhythm社は、希少な神経内分泌疾患と共に生きる患者さんとその家族の生活を変革することを使命とするバイオ医薬品企業です。主力製品であるイムシブリー®(一般名:セトメラノチド)は、過食および重度肥満の治療を目的としたMC4Rアゴニストであり、米国食品医薬品局(FDA)により、成人および4歳以上の小児の後天性視床下部性肥満、ならびにバルデー・ビードル症候群(BBS)または遺伝学的に確認されたプロオピオメラノコルチン(POMC)欠損症(プロプロテインコンバーターゼサブチリシン/ケキシン1型(PCSK1)欠損症を含む)、レプチン受容体(LEPR)欠損症に起因する症候群性疾患または単一遺伝子疾患を有する成人および2歳以上の小児患者さんにおける過剰体重の減少および長期的な体重減少の維持を目的として承認されています。欧州委員会(EC)は、成人および4歳以上の小児への後天性視床下部性肥満における肥満および空腹感の制御を目的として本剤の使用を承認しており、欧州委員会(EC)および英国医薬品医療製品規制庁(MHRA)は、視床下部の損傷または機能障害に起因する後天性視床下部性肥満を有する4歳以上の患者さんにおける肥満の治療および空腹感のコントロール、ならびに遺伝学的に確認されたBBS、POMC(PCSK1を含む)の機能喪失型両対立遺伝子欠損または両対立遺伝子LEPR欠損に伴う肥満の治療および空腹感のコントロールを目的として、成人および2歳以上の小児における本剤の使用を承認しています。さらにRhythm社は、他の希少疾患における本剤の広範な臨床開発プログラム、研究段階のMC4RアゴニストであるbivamelagonおよびRM-718、ならびに先天性高インスリン血症治療を目的とした前臨床段階の低分子化合物群の開発を推進しています。Rhythm社の本社はマサチューセッツ州ボストンにあります。

企業ホームページ:

本社英語版 <https://rhythmtx.com/>

日本語版 <https://international.rhythmtx.com/ja>

将来に関する記述

本プレスリリースには、1995年私的証券訴訟改革法に定める将来予測に関する記述が含まれています。本プレスリリースに含まれる、過去の事実に関する事項以外のすべての記述は、将来予測に関する記述とみなされるべきです。これには、セトメラノチド、bivamelagon および

RM-718 を含む当社の製品または製品候補について、用量または適応症を問わず、その安全性、有効性、潜在的な有益性、臨床試験の設計または進捗状況に関する記述、後天性視床下部性肥満患者さんにおけるセトメラノチドの使用および販売開始の成否、当社の製品候補に関する規制当局への申請、進捗または承認の可能性およびその時期（日本での発売およびその時期を含む）、イムシブリーの事業成長、後天性視床下部性肥満の治療に用いるセトメラノチドを含む当社製品の推定市場規模および対象患者数、ならびにこれらの時期に関する記述が含まれますが、これらに限定されません。「期待する」、「予想する」、「確信する」、「かもしれない」、「するだろう」などの用語を使用した記述も、将来予測に関する記述です。このような記述は、臨床試験への患者さん組み入れ能力、臨床試験の設計と結果、競合の影響、必要な規制当局の承認を取得する能力、データ分析および報告に関連するリスク、不利な価格規制、第三者による償還慣行または医療制度改革、当社の国際事業を規律する法令および規制に関連するリスク、ならびに関連するコンプライアンス・プログラムの費用、セトメラノチドの商業化を成功させる能力、当社の流動性および経費、主要な従業員およびコンサルタントを維持し、有能な人材を惹きつけ、維持し、動機付ける能力、一般的な経済状況、ならびに 2026 年 6 月 30 日終了の四半期に係る当社の四半期報告書 (Form 10-Q) の「リスク要因」の項および当社が米国証券取引委員会 (SEC) に提出したその他の書類に記載されているその他の重要な要因を含む、多数のリスクおよび不確実性の影響を受けます。法律で義務付けられている場合を除き、当社は、本リリースに含まれる将来予測に関する記述を修正する義務、または新たな情報、将来の展開その他の結果として、本リリースの日付以降に発生する事象もしくは状況を反映するためにこれらを更新する義務を負いません。

企業連絡先：

David Connolly
Head of Investor Relations and Corporate Communications
Rhythm Pharmaceuticals, Inc.
857-264-4280
dconnolly@rhythmtx.com

メディアお問い合わせ先：

Kate Walsh
Director, Corporate Communications
Rhythm Pharmaceuticals, Inc.
(857) 264-4280
kwalsh@rhythmtx.com

メディアお問い合わせ先（日本語、株式会社コスモ・ピーアール内）：

リズムファーマ株式会社広報事務局 rhythm_pr@cosmopr.co.jp