



Press Release

2018年9月11日

各 位

会 社 名 第 一 三 共 株 式 会 社
代 表 者 代 表 取 締 役 社 長 眞 鍋 淳
(コ ー ド 番 号 4 5 6 8 東 証 第 1 部)
問 合 せ 先 執 行 役 員 コ ー ポ レ ー ト コ ミ ュ ニ ケ ー シ ョ ン 部 長 小 川 晃 司
TEL 報 道 関 係 者 の 皆 様 03-6225-1126
株 式 市 場 関 係 者 の 皆 様 03-6225-1125

キザルチニブの急性骨髄性白血病に対する 希少疾病用医薬品の指定について

第一三共株式会社（本社：東京都中央区、以下「当社」）は、厚生労働省よりキザルチニブ（FLT3 阻害剤、以下「本剤」）が FLT3 変異を有する急性骨髄性白血病（以下「AML」）治療を対象として希少疾病用医薬品指定^{*1}を受けたことをお知らせいたします。

本剤は、FLT3-ITD変異を有する再発または難治性のAML患者を対象としたグローバル第3相臨床試験（QuANTUM-R試験）において、既存の化学療法剤と比較して全生存期間（OS）^{*2}を有意に延長し、安全性においても新たな懸念は認められませんでした。

本剤は、米国食品医薬品局（以下「米国FDA」）より FLT3-ITD 変異を有する再発または難治性のAML治療を対象として画期的治療薬（Breakthrough Therapy）指定^{*3}とファストトラック指定^{*4}を、また米国FDA及び欧州医薬品庁（EMA）よりAML治療を対象としてオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定を受けています。

当社は、AML患者さんへ本剤をいち早く提供できるよう、国内を含めたグローバル承認申請に向けた準備を進めています。

以 上

- *1 希少疾病用医薬品指定とは、医薬品医療機器等法第77条の2に基づき、対象患者数が国内において5万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、薬事・食品衛生審議会の意見を参考にして、厚生労働大臣が指定する制度です。医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないことにより、国内では十分にその研究開発が進んでいない状況を踏まえ、安全かつ良質な医薬品を一日も早く医療の現場に提供することを目的に、開発を支援・促進する制度です。また、税制措置、再審査期間の延長等の支援措置も受けられます。
- *2 全生存期間（OS）とは、原因を問わず死亡するまでの期間です。
- *3 画期的治療薬（Breakthrough Therapy）指定とは、重篤な疾患を対象に、既存の治療薬よりも高い治療効果を示す可能性のある薬剤の開発と審査を促進し、患者さんにより早く新薬を届けるために定められた米国における制度です。
- *4 ファストトラック指定とは、重篤で未充足の医療ニーズが高い疾患に対し、高い治療効果が期待できる薬剤の開発・審査の迅速化を目的とした米国における制度です。

（参考）

FLT3-ITD 変異を有する急性骨髄性白血病（AML）について

AML は、骨髄における白血病細胞の異常な増殖の結果、正常な血液細胞の産生が著しく阻害され、治療をしないと短期間で致死的になる予後不良な血液疾患です。FLT3-ITD 変異は、AML において比較的頻度の高い遺伝子変異であり、AML 患者の約 25%に認められると考えられています。FLT3-ITD 変異を有する AML 患者は、変異のない患者と比べ、再発率が高く生存期間が短いと考えられています。

第一三共のがん事業について

当社のがん事業は、世界最先端のサイエンス（科学的知見、技術）を応用し、がん患者さんのための革新的な治療を提供することを使命としています。

当社は、日本のがん領域ラボラトリー（バイオ・がん免疫・低分子）と米国プレキシコン（低分子）の強力な研究体制を通じて、がん領域の開発パイプラインの拡充を進めており、抗体薬物複合体（ADC）フランチャイズ、急性骨髄性白血病（AML）フランチャイズおよびブレイクスルー・サイエンスを3つの柱として、2025年までの8年間に7つの革新的新薬の上市を目指します。

主要開発品目には、抗 HER2 抗体薬物複合体 DS-8201（目標適応：乳がん、胃がん、その他固形がん）、FLT3 阻害剤キザルチニブ（目標適応：急性骨髄性白血病）、CSF-1R 阻害剤ペキシダルチニブ（目標適応：腱滑膜巨細胞腫）等があります。