



Press Release

2021年12月13日

報道関係者各位

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 4568 東証第1部)
問 合 せ 先 コーポレートコミュニケーション部長 大沼 純一
TEL 03-6225-1126

米国血液学会（ASH）年次総会で発表したバレメトスタット（DS-3201）の 成人 T 細胞白血病・リンパ腫患者を対象とした 国内第 2 相臨床試験の最新データ及び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、再発または難治性の成人 T 細胞白血病・リンパ腫（以下「ATL」）患者を対象としたバレメトスタット（DS-3201：EZH1/2 阻害剤、以下「本剤」）の国内第 2 相臨床試験（以下「本試験」）の最新データについて、米国血液学会（ASH 2021）で発表しましたので、お知らせいたします。

有効性については、再発または難治性のATL患者25名において、主要評価項目である奏効率^{*1}は48%（完全寛解^{*2}5名、部分寛解^{*3}7名）でした。また、病勢安定^{*4}は10名でした。

安全性については、再発または難治性のATL患者25名において、新たな懸念は認められませんでした。グレード3^{*5}以上の有害事象は、60%（15名）にみられました。

本試験の結果に基づき、本剤は、再発または難治性のATL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^{*6}を受けました。

なお、本剤は、再発または難治性の末梢性T細胞リンパ腫（PTCL）の治療を対象として、厚生労働省から「先駆け審査指定制度」の対象品目に、またFDAからPTCLの治療を対象として「希少疾病用医薬品」に指定されています。

再発または難治性のATLに対する有効な治療法は十分ではなく、当社は、患者さんに本剤を速やかに提供できるよう、本試験結果に基づき国内での承認申請に向けた準備を進めております。

以 上

- *1 奏効率とは、完全寛解及び部分寛解の患者の割合です。
- *2 完全寛解とは、すべての病変（リンパ節の腫大など）が消失した状態です。
- *3 部分寛解とは、すべての病変が縮小し、かつ新病変がない状態です。
- *4 病勢安定とは、腫瘍が安定している状態です。
- *5 米国国立がん研究所（NCI）の有害事象共通用語規準（CTCAE）で規定された重症度を意味し、グレード 1～5 に分類されます。
- *6 希少疾病用医薬品の指定とは、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。

成人 T 細胞白血病・リンパ腫（ATL）患者について

ATL は、ヒト T 細胞白血病ウイルス 1 型（HTLV-1）の感染が原因で発症する疾患で、日本に多い悪性リンパ腫の一種です。新規患者数は、世界では年間約 3,000 人、日本では約 1,000 人と推定されており、日本での死亡者数は約 1,000 人以上とされています。ATL の発症予防法や有効な治療法は十分ではなく、予後不良な疾患です。

バレメトスタット（DS-3201）について

本剤は、エピジェネティクス（DNA 配列の変化を伴わない遺伝子発現変化を誘導する分子メカニズム）領域の低分子医薬品で、EZH1 及び EZH2 を選択的に阻害します。EZH1 及び EZH2 は、多くの血液がんで発現しているヒストンメチル化酵素で、がん抑制遺伝子の不活性化に関係していることが示されています。本剤については、本試験に加え、日本を含むアジア、欧州、北米、オセアニアにおいて再発または難治性の PTCL 患者及び ATL 患者を対象とした第 2 相臨床試験（VALENTINE-PTCL01）、米国及び日本において再発または難治性の非ホジキンリンパ腫患者を対象とした第 1 相臨床試験を実施中です。