



## Press Release

2018年10月3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 4568 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

### Axicabtagene Ciloleucelの希少疾病用再生医療等製品の指定について

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 axicabtagene ciloleucel<sup>\*1</sup>（前 KTE-C19、以下「Axi-Cel<sup>®</sup>」）が、びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫（以下「DLBCL」）、原発性縦隔（胸腺）大細胞型 B 細胞リンパ腫（以下「PMBCL」）、形質転換濾胞性リンパ腫（以下「TFL」）、および高悪性度 B 細胞リンパ腫（以下「HGBL」）<sup>\*2</sup>を対象として、希少疾病用再生医療等製品<sup>\*3</sup>に指定されましたので、お知らせいたします。

Axi-Cel<sup>®</sup>は、CD19 と呼ばれる膜タンパク質を標的とする細胞治療製品（キメラ抗原受容体 T 細胞：CAR-T<sup>\*4</sup>）で、当社は 2017 年 1 月にギリアド・サイエンシズの子会社である Kite Pharma, Inc.（所在地：米国カリフォルニア州）から国内における開発、製造及び販売の独占的権利を取得しました。海外では、Axi-Cel<sup>®</sup>の B 細胞リンパ腫を対象とした第 1/2 相臨床試験（ZUMA-1 試験）が実施され、その結果をもとに米国および欧州ではすでに承認されています。国内では、現在、当社が ZUMA-1 試験と同様の第 2 相臨床試験を準備しております。

今回、希少疾病用再生医療等製品の指定を受けたことにより、未充足医療ニーズの高い難治性又は再発の大細胞型 B 細胞リンパ腫患者さんへ Axi-Cel<sup>®</sup>を国内でもいち早く提供できるよう、開発を加速してまいります。

以上

- \*1 axicabtagene ciloleucel の参考字訳：アキシカブタジン シロルーセル
- \*2 DLBCL および PMBCL は、大型の腫瘍細胞がびまん性増殖を示す、リンパ球の中の B 細胞から発生する非ホジキンリンパ腫です。TFL は低悪性度リンパ腫である濾胞性リンパ腫が中悪性度リンパ腫である DLBCL に形質転換したもので、形質転換の頻度は年間 2~3% と報告されています。HGBL は進行が極めて早い B 細胞リンパ腫です。
- \*3 希少疾病用再生医療等製品は、医薬品医療等機器法第 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ものです。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、安全かつ良質な再生医療等製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与えられます。
- \*4 キメラ抗原受容体 T 細胞 (CAR-T) 療法とは血液から分離した T 細胞に、特定のがん細胞表面に発現している抗原に対する攻撃能を高めるためにキメラ抗原受容体の遺伝子を導入し、改変 T 細胞を拡大培養した後に患者体内に注入する細胞療法です。

#### 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ークスルー・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 trastuzumab deruxtecan（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。