

アステラス早期アクセスプログラム（2022年03月31日現在）

本資料は、アステラスグループ全体の取り組みとして、実施中の早期アクセスプログラムについて情報提供を行うことを目的としています。国、地域により早期アクセスプログラムの実施状況は異なります。また、日本においては、早期アクセスプログラムは拡大治験として実施されます。日本で実施中の拡大治験の試験情報は、独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）のウェブサイト <https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0019.html> でご確認ください。

アステラスでは、市販前に当社の開発中の治療法へのアクセスを提供する最も安全かつ効果的な方法は、当社で進行中の治験に登録していただくことだと考えています。アステラスはまた、生命を脅かす疾患に直面している患者さんが、利用できるすべての治療選択肢を使い果たし、治験への適格性基準を満たさない場合に、当社の開発中の治療法へのアクセスを提供するために該当する規制・法的手続きを活用することも重要であると考えています。アステラスが治験依頼者である、現在開発中の治療法を使用する進行中の治験については、<https://clinicaltrials.gov/>をご覧ください。

アステラスでは、「早期アクセス」を、「処方を行う医療従事者からの自発的な依頼に応じた、治験の設定外での患者さんへのアステラスの開発中の治療法の提供」と定義しています。現地の規制により許可されている場合、アステラスは、他に実行可能な代替治療法のない患者さんのために、医師から自発的な依頼のあった早期アクセスについて検討いたします。早期アクセスの提供を保証することはできませんが、依頼があれば、個別に検討させていただきます。

アステラスの開発中の治療法のうち、通常、現在利用できる代替治療法のない生命を脅かす疾患をターゲットとする特定の治療法については、個々の依頼をより効率的に管理するために、早期アクセスプログラムを開始する場合があります。早期アクセスプログラムは、各国の法規制に基づいて様々な法的手続きを利用し多数の国において実施される可能性があります。プログラムの要件は国によって異なる場合があります。早期アクセスプログラムは、製造販売承認前に開始され、通常市販前に終了します。

現在実施中又は患者登録中のアステラスのグローバル早期アクセスプログラムを、以下に示します。これらのプログラムでは、現在開発中の治療法へのアクセスを患者さんに提供します。なお、プログラムに参加する場合は、医師は承認された治療プロトコールに従うことが求められま

す。ClinicalTrials.gov に登録されている早期アクセスプログラムについては、リンクを提供いたします。プログラムが新規患者を受け入れ中であるかどうかは、このリンクでご確認ください。

治療法	プログラムの進捗状況
Enfortumab vedotin (エンホルツマブ ベドチン) へのア クセスを希望する医師	Enfortumab vedotin (エンホルツマブ ベドチン、ASP7465) 早期ア クセスプログラムは、Enfortumab vedotin (エンホルツマブ ベドチン) がま だ市販されていない一部の国において計画されています。Enfortumab vedotin (エンホルツマブベドチン) への早期アクセスは、適格性基準 を満たす患者に限定されます。追加情報を希望する医師は、アステラ スまでお問い合わせください (EV.GlobalEAP.Request@astellas.com) 承認取得した地域におきましては、Enfortumab vedotin (エンホルツマ ブ ベドチン) は PADCEV®の商品名で入手できます。
Enzalutamide (エン ザルタミド) へのア クセスを 希望する医師	去勢抵抗性前立腺がんを有する適格性基準を満たす患者の治療を目的 とするグローバル Enzalutamide (エンザルタミド、MDV3100) 早期 アクセスプログラムは、新規患者の参加を終了しました。 承認取得した地域におきましては、Enzalutamide (エンザルタミド) は、XTANDI®の商品名で入手できます。
Gilteritinib (ギルテ リチニブ) へのア クセスを希望 する医師	FLT3 変異陽性の再発性又は難治性急性骨髄性白血病 (AML) を有する 適格性基準を満たす成人患者の治療を目的とする Gilteritinib (ギルテリ チニブ、ASP2215) 早期アクセスプログラムは、すべての国および地域 で新規患者の参加を終了しました。 承認取得した地域におきましては、Gilteritinib (ギルテリチニブ) は、 XOSPATA®の商品名で入手できます。
Zolbetuximab (ゾル ベツキシマブ) への アクセス を希望する医師	早期アクセスプログラムは現在実施されていないため、Zolbetuximab (ゾルベツキシマブ) は治験以外では利用できません。患者さんが Zolbetuximab (ゾルベツキシマブ) をできるだけ早く利用できるよう、 規制当局からの承認取得に向けて現在進行中の治験に集中していま す。

遺伝子治療

アステラスの Gene Therapy Center of Excellence は、重篤な希少神経筋疾患を抱えながら、治療選択肢がない (又は限られた) 患者さんのために、安全で有効な遺伝子治療を開発し、市販化することに注力しています。当社は、患者さんにこれらの革新的な製品を一刻も早く提供することの必要性を認識しており、そのため日夜研究に取り組んでいます。

アステラスで後期開発段階にある遺伝子治療の早期アクセス状況を、以下に示します。

Astellas Gene Therapies が治験依頼者である治験については、<https://clinicaltrials.gov/>をご覧ください。
症状と Audentes Therapeutics で検索してください。

遺伝子治療	プログラムの進捗状況
Resamirigene bilparvovec へのアクセスを希望する医師	<p>X連鎖性ミオチューブラーミオパチー (XLMTM) を対象とした遺伝子治療製品である Resamirigenebilparvovec (AT132) の安全性と有効性を検証して規制当局の承認を取得し、該当する患者さんができるだけ早く入手可能となるようにすることを優先事項として位置付けています。</p> <p>当社にとって、患者さん、医療専門家の方々、及び当社従業員の安全性は何よりも重要です。そのため、当社は現行の早期アクセスポリシーを見直しましたが、現時点では治験以外で早期アクセスを提供することは適切ではないという見解を維持することに致しました。早期アクセスについての決断は、実施を決めた時点で多くの複雑な課題が考慮されたうえで真摯に実施されており、これは現在においても同じです。</p> <p>より広範な XLMTM 患者さんにおける安全性と有効性の可能性を判断するためには、XLMTM 治験を完了することに引き続き集中することが重要と考えています。</p>
開発中のその他の遺伝子治療へのアクセスを希望する医師	<p>現時点では、治験への参加が、現在開発中の遺伝子治療にアクセスする唯一の方法です。</p> <p>追加情報をお求めの医師・医療提供者の方々は、medinfo@audentestx.com までお問い合わせください。</p>