

## Press Release

2018年3月22日

### ギルテリチニブ:厚生労働省より希少疾病用医薬品指定を取得

アステラス製薬株式会社(本社:東京、代表取締役社長 CEO:畑中 好彦、以下「アステラス製薬」)は、FLT3/AXL 阻害剤であるギルテリチニブ(一般名、開発コード:ASP2215)が、FLT3 遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病を予定される効能・効果として、厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けましたのでお知らせします。

日本における希少疾病用医薬品の指定制度は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少なく、研究開発が十分に進んでいない医薬品等の開発を支援することを目的としています。医薬品医療機器等法第 77 条に基づき、対象患者数が本邦において 5 万人未満であること、代替する適切な医薬品等または治療法がないこと、既存の医薬品等と比較して著しく高い有効性または安全性が期待されることなどの条件に合致するものとして、厚生労働大臣が指定するものです。具体的な支援内容は、試験研究費への助成金交付、優先的な治験相談、治験相談手数料の減額、税制措置上の優遇、優先審査の実施、審査手数料の減額、および再審査期間の延長です\*1。

急性骨髄性白血病(AML: Acute Myeloid Leukemia)は血液と骨髄に影響を及ぼし、高齢者が多く罹患するがんであり、加齢とともに患者数が増加します。日本では毎年約 5,500 人が新たに AML と診断されます\*2。がん細胞の増殖に関与する受容体型チロシンキナーゼである FLT3 および AXL を阻害するギルテリチニブは治験中の化合物です。AML 患者の約 1/3 で認められる FLT3 の 2 つの遺伝子変異である遺伝子内縦列重複変異(ITD: Internal Tandem Duplication)とチロシンキナーゼドメイン変異(TKD: Tyrosine Kinase Domain)の両方を阻害します。さらに、ギルテリチニブは AML 細胞株の AXL 受容体に対する阻害効果も示します。

アステラス製薬は、FLT3 遺伝子変異陽性 AML 患者さんにギルテリチニブを一日でも早く届けられるよう、引き続き取り組んでまいります。

以上

\*1: <http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>

\*2: KantarHealth. TREATMENT ARCHITECTURE: JAPAN LEUKEMIA, ACUTE MYELOID. CancerMPact® Japan, February 2017.

### ギルテリチニブについて

現在、アステラス製薬は、日本を含むグローバルですでに開始されている複数の第 III 試験により、各種 AML 患者集団においてギルテリチニブの有効性および安全性を検証しています。ギルテリチニブの臨床試験の詳細については <http://www.clinicaltrials.gov> をご覧ください。

ギルテリチニブは、寿製薬株式会社との共同研究により見出されました。アステラス製薬はギルテリチニブについて、全世界での開発、製造、ならびに将来的な商業化に関する独占的な権利を有します。ギルテリチニブは、米国 FDA よりオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）およびファストトラックの指定を、欧州委員会より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。また、厚生労働省より「初回再発又は治療抵抗性の FLT3 遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病」を予定される効能・効果として「先駆け審査指定制度」の対象品目に指定されています。

### アステラス製薬について

アステラス製薬株式会社 (<https://www.astellas.com/jp/>) は、東京に本社を置き、「先端・信頼の医薬で、世界の人々の健康に貢献する」ことを経営理念に掲げる製薬企業です。既存の重点疾患領域である泌尿器、がん、免疫科学、腎疾患、神経科学に加えて、新たな疾患領域への参入や新技術・新治療手段を活用した創薬研究にも取り組んでいます。さらには各種医療・ヘルスケア事業との融合による新たな価値創出にも挑戦しています。アステラス製薬は、変化する医療の最先端に立ち、科学の進歩を患者さんの価値に変えていきます。

### 注意事項

このプレスリリースに記載されている現在の計画、予想、戦略、想定に関する記述およびその他の過去の事実ではない記述は、アステラス製薬の業績等に関する将来の見通しです。これらの記述は経営陣の現在入手可能な情報に基づく見積りや想定によるものであり、既知および未知のリスクと不確実な要素を含んでいます。さまざまな要因によって、これら将来の見通しは実際の結果と大きく異なる可能性があります。その要因としては、(i) 医薬品市場における事業環境の変化および関係法規制の改正、(ii) 為替レートの変動、(iii) 新製品発売の遅延、(iv) 新製品および既存品の販売活動において期待した成果を得られない可能性、(v) 競争力のある新薬を継続的に生み出すことができない可能性、(vi) 第三者による知的財産の侵害等がありますが、これらに限定されるものではありません。また、このプレスリリースに含まれている医薬品（開発中のものを含む）に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。

---

### お問い合わせ先:

アステラス製薬株式会社

広報部

TEL: 03-3244-3201 FAX: 03-5201-7473