



2018年9月21日

各位

会社名 アステラス製薬株式会社  
代表者 代表取締役社長 CEO 安川 健司  
コード番号 4503  
(URL <https://www.astellas.com/jp/>)  
東証 (第一部)  
決算期 3月  
問い合わせ先 広報部長 緒方 ステイグ  
Tel: (03)3244-3201

## FLT3 阻害剤「ゾスパタ<sup>®</sup>錠 40 mg」 再発又は難治性の FLT3 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病 治療薬として日本で製造販売承認取得

アステラス製薬株式会社(本社:東京、以下「アステラス製薬」)は、FLT3(FMS-like tyrosine kinase 3)阻害剤「ゾスパタ<sup>®</sup>錠 40 mg」(一般名:ギルテリチニブフマル酸塩)について、本日、「再発又は難治性の FLT3 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病」を効能・効果として、日本において製造販売承認を取得しましたので、お知らせします。

急性骨髄性白血病(Acute Myeloid Leukemia: AML)は血液と骨髄に影響を及ぼすがんであり、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 と診断されています\*1。ゾスパタ<sup>®</sup>錠は、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 の活性化変異(遺伝子内縦列重複変異(Internal Tandem Duplication: ITD))とチロシンキナーゼドメイン変異(Tyrosine Kinase Domain: TKD))を共に阻害します。これらの FLT3 変異は、AML 患者の約 1/3 で認められていることが報告されています。

ギルテリチニブフマル酸塩は 2015 年 10 月に日本において先駆け審査指定制度\*2の対象品目として指定を受け、2018 年 3 月に国際共同第 III 相試験(ADMIRAL 試験)の中間解析における CR/CRh 率\*3の結果に基づき承認申請し、本日取得しました。なお、米国においても 2018 年 3 月に承認申請し、現在審査中です。

アステラス製薬は今回の承認取得により、新たな治療選択肢を提供することで、AML に苦しむ患者さんとその治療に携わる医療関係者に一層の貢献をしていきます。

なお、本件による業績への影響は、2019 年 3 月期連結業績予想に織り込み済みです。

## 製品概要

製品名	ゾスパタ <sup>®</sup> 錠 40mg
一般名	ギルテリチニブフマル酸塩
効能・効果	再発又は難治性の <i>FLT3</i> 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病
用法・用量	通常、成人にはギルテリチニブとして 120 mg を 1 日 1 回経口投与する。なお、患者の状態により適宜増減するが、1 日 1 回 200 mg を超えないこと。
承認取得日	2018 年 9 月 21 日

### ギルテリチニブフマル酸塩(以下「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 相試験により、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中です。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)およびファストラックの指定を、欧州委員会よりオーファンドラッグ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」を予定される効能又は効果として「先駆け審査指定制度」の対象品目の指定、および「*FLT3* 遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病」を予定される効能又は効果として希少疾病用医薬品の指定を受けています。

### ADMIRAL 試験について

第 III 相 ADMIRAL 試験は、AML に対する一次治療後に再発した、または一次治療抵抗性の *FLT3* 遺伝子変異陽性の成人 AML 患者を対象として、ギルテリチニブと救援化学療法\*<sup>4</sup>を比較する非盲検\*<sup>5</sup>多施設無作為化試験として実施されています。本試験の主要評価項目は全生存期間(Overall Survival: OS)および CR/CRh 率\*<sup>3</sup>であり、試験は現在も進行中です。本試験では *FLT3* 遺伝子に変異があると判定された患者 371 名が組み入れられました。患者は 2:1 の割合でギルテリチニブ(120 mg を 1 日 1 回)または救援化学療法\*<sup>4</sup>のいずれかを投与する群に無作為に割付けられました。

\*1 : KantarHealth. TREATMENT ARCHITECTURE: JAPAN LEUKEMIA, ACUTE MYELOID. CancerMPact<sup>®</sup> Japan, February 2017.

\*2 先駆け審査指定制度: 先駆け審査指定制度の内容は、①優先相談、②事前評価の充実、③優先審査の 3 つの取り組みで承認取得期間の短縮を実施、④審査パートナー制度(独立行政法人 医薬品医療機器総合機構が実施)、⑤製造販売後の安全対策充実の 2 つの取り組みで、開発の促進を支援するもの。

\*3 CR/CRh 率: 完全寛解(CR)と部分的血液学的回復を伴う完全寛解(CRh)の割合のこと。

**\*4 救援化学療法:**主に血液がんにおいて、一次治療の効果が得られない場合(治療抵抗性)、または一次治療後に再発・再燃した場合に用いる治療法のこと。サルベージ化学療法と呼ばれることもある。

**\*5 非盲検試験:**被験者にどの治療が割り付けられたかについて医師、被験者、スタッフ全員に知られている試験のこと。

#### **アステラス製薬について**

アステラス製薬株式会社は、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。アステラス製薬の詳細については、(<https://www.astellas.com/jp/>)をご覧ください。

#### **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。