

Press Release

2025年2月5日

avacincaptad pegol

地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性の治療薬として 日本で条件付き承認制度に基づく製造販売承認申請

アステラス製薬株式会社(本社:東京、代表取締役社長CEO:岡村 直樹、以下「アステラス製薬」)は、avacincaptad pegol(以下「ACP」)硝子体内注射液について、地図状萎縮(Geographic Atrophy:GA)を伴う加齢黄斑変性(Age-related Macular Degeneration:AMD)の治療薬として、本日、日本で条件付き承認制度に基づく製造販売承認申請を行いました。承認された場合、GAを伴うAMDに対する日本でファーストインクラスの治療薬となる可能性があります。

GAは、AMDの一病態であり、不可逆的な視力低下を引き起こす可能性があります¹。現在、米国とオーストラリア以外で承認された治療法は存在しません²。全世界で500万人以上が罹患していると推定されており、適切なタイミングで治療を受けない場合、患者の66%が失明または重度の視覚障害に至る可能性があると考えられています^{1,3}。GAを伴うAMDは、患者の日常生活や精神的健康に重大な影響を与える疾患です^{4,5}。

今回の申請は、GAを伴うAMD患者を対象に、毎月ACP 2 mgを硝子体内投与し、安全性と有効性を評価した2つのピボタル試験(GATHER1、2試験)を含む海外臨床試験成績の結果に基づいています⁶。GATHER1、2試験のデータは、ACPがGAの進行速度を抑制し、良好な安全性プロファイルを有することを示しています⁶。また、両試験において、GAの進行速度の抑制効果は、2年間にわたって持続することが確認されました⁷。

アステラス製薬は、失明リスクの高い網膜疾患に苦しむ世界中の患者さんのアンメットメディカルニーズを満たす新たな治療選択肢を提供していきます。

本件によるアステラス製薬の通期(2025年3月期)連結業績への影響はありません。

以上

avacincaptad pegol(ACP)について

ACP は、地図状萎縮(Geographic Atrophy:GA)を伴う加齢黄斑変性(Age-related Macular Degeneration:AMD)の治療薬として、日本で条件付き承認制度に基づく製造販売承認申請が行われる補体因子 C5 阻害剤です。IZERVAY™(ACP)は、GA を伴う AMD 治療剤として、FDA から 2023 年 8 月 4 日に承認を取得しています⁶。補体系の過剰な活性化と C5 タンパク質は、地図状萎縮(GA)を伴う加齢黄斑変性(AMD)の発症や悪化、視力低下に重要な影響を及ぼすと考えられています⁷。ACP は、C5 タンパク質を標的とすることによって、網膜細胞の変性を引き起こす補体系の活性を低下させ、GA の進行を遅らせると考えられています⁸。

地図状萎縮(Geographic Atrophy: GA)を伴う加齢黄斑変性(Age-related Macular Degeneration: AMD)について

加齢黄斑変性(AMD)は、高齢者における中等度から重度の中心視力低下の主な原因であり、患者さんの大半は両目を侵されています^{1,8,9}。黄斑は網膜の中心部にあるわずかな領域で、中心視力をつかさどっています。AMD が進行すると、黄斑部の網膜色素上皮細胞とその下部にある血管が失われ、網膜組織が著しく薄くなったり、萎縮したりします⁹。地図状萎縮(GA)を伴う AMD は、患者さんの視力を不可逆的に低下させます¹¹。

GATHER2 試験について

GATHER2 試験(NCT04435366)は無作為化二重盲検偽処置対照多施設共同の第 III 相試験で、GA を伴う AMD 患者 448 人が組み入れられ、ACP を硝子体内投与した場合の安全性と有効性を評価しました⁵。ACP は投与後 12 カ月時点において、主要評価項目を達成しました⁶。最初の 12 カ月間は、毎月 1 回 ACP を投与される群と偽処置対照群に無作為に割り付けられました。投与後 12 カ月以降、ACP 投与群は毎月 1 回 ACP を投与される群(n=96)と 2 カ月に 1 回 ACP を投与される群に再割り付けされました(n=93)。偽処置対照群は 2 年目も偽処置を受け続けました(n=203)⁷。IZERVAY™ は、非盲検延長試験で評価が継続中です。

アステラス製薬株式会社について

アステラス製薬は、科学の進歩を患者さんの「価値」に変えることを目指すグローバルライフサイエンス企業です。私たちは、がんや、眼科・泌尿器疾患、免疫、ウィメンズヘルスなどの多様な領域において、革新的な治療法を提供しています。研究開発プログラムを通じて、アンメットメディカルニーズの高い疾患領域において新たなヘルスケアソリューションを開拓しています。

アステラス製薬の詳細については、www.astellas.com 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。

お問い合わせ先:

アステラス製薬株式会社

広報

TEL: 03-3244-3201

参考文献

1. Keenan TDL, Cukras CA, Chew EY. Age-Related Macular Degeneration: Epidemiology and Clinical Aspects. *Adv Exp Med Biol*. 2021;1256:1-31.
2. Apellis. Apellis Receives Approval of SYFOVRE® (pegcetacoplan) in Australia for Geographic Atrophy (GA). Available at: <https://investors.apellis.com/news-releases/news-release-details/apellis-receives-approval-syfovrer-pegcetacoplan-australia>. Last accessed: February 2025.
3. Colijn JM, Liefers B, Joachim N, et al. Enlargement of geographic atrophy from first diagnosis to end of life. *JAMA Ophthalmol*. 2021;139(7):743–750.
4. Lundeen EA, Saydah S, Ehrlich J, Saaddine J. Self-reported vision impairment and psychological distress in U.S. adults. *Ophthalmic Epidemiol*. 2022;29(2):171–181.
5. World Health Organization. Blindness and vision impairment. Available at: <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/blindness-and-visual-impairment>. Last accessed: January 2025.
6. IZERVAY™ (avancincaptad pegol intravitreal solution) Prescribing Information. February 2024.
7. Khanani AM, Patel SS, Staurengi G, et al. GATHER2: Two-Year Data. Presented at AAO 2023 127th Annual Meeting. San Francisco, CA. 11-03-2023 to 11-06-2023.
8. Desai D and Dugel PU. Complement cascade inhibition in geographic atrophy: a review. *Eye*. 2022;36(2):294–302.
9. Ayoub T and Patel N. Age-related macular degeneration. *J R Soc Med*. 2009;102(2):56–61.
10. Jaffe GJ, Westby K, Csaky KG, et al. C5 Inhibitor avacincaptad pegol for geographic atrophy due to age-related macular degeneration: a randomized pivotal phase 2/3 trial. *Ophthalmology*. 2021;128(4):576–586.
11. Patel PJ, Ziemssen F, Ng E, et al. Burden of illness in geographic atrophy: a study of vision-related quality of life and health care resource use. *Clin Ophthalmol*. 2020;14:15–28.