



2013年6月20日

報道関係各位

セルジーン株式会社

セルジーン社が米国現地時間の2013年6月17日に発表したプレスリリースの日本語要約をご参考までにお知らせします。

内容については、原文が優先されます。詳細につきましては、www.celgene.comをご参照ください。

経口抗がん剤レブラミド[®]（一般名：レナリドミド）、希少血液疾患の治療薬として承認

5番染色体長腕部欠失単独異常を伴う骨髄異形成症候群（MDS）による輸血依存の貧血治療薬に

セルジーン社（本社：米国ニュージャージー州）は現地時間6月17日に、欧州委員会（EC）より、レブラミド[®]の販売承認を変更した旨の通知を受けました。この変更により、レブラミド[®]は、5番染色体長腕部欠失単独異常を伴う低リスク又は中間-1リスクの骨髄異形成症候群（MDS）による輸血依存の貧血で他の治療法による効果が不十分又は不適切な患者さんの治療薬として承認されたこととなります¹。

MDSは、骨髄における血液細胞と血小板の産生に異常がおきるために、重度の貧血、感染症や出血を引き起こすがんの一種です²。MDS患者さんの約50%は、何らかの細胞遺伝学的異常があり、そのうち30%の患者さんに5番染色体長腕部欠失が認められます³。一般的にMDSでは5番染色体長腕部欠失の他に染色体異常が伴う場合においては、予後が悪く急性骨髄性白血病（AML）への進展リスクが高まり、しばしば致命的となります²。

ドイツ・デュッセルドルフにあるMarien HospitalのAristotles Giagounidis博士は、次のように述べています。「5番染色体長腕部欠失単独異常を伴う輸血依存性のMDS患者さんには、これまで有効な治療法がほとんどありませんでした。このたびECの決定を受けて、有効な治療法が登場し、患者さんに新たな希望もたらされました。これまでMDSの標準的治療は赤血球輸血でした。赤血球輸血は疾病のコントロールという点では有効ですが、医療提供者や医療制度はもちろん、MDS患者の大部分を占める高齢の患者さんにとって特に大きな負担となっていました。」

セルジーン社の欧州・中東・アフリカ地域担当の社長アラン・コロウィック（Alan Colowick）は、次のように述べています。「欧州における5番染色体長腕部欠失単独異常を伴うMDS患者さんに重要な治療選択肢を提供するため、長年にわたり規制当局と協力し開発を行ってきたことにより今回の承認が実現しました。セルジーン社は、この希少疾患への適応症のために、7年近く努力してまいりました。そして、この粘り強い取り組みを経て、ついに多くの関係者の方々と共に5番染色体長腕部欠失単独異常を伴うMDS患者さんにレブラミド[®]をお届けするための業務を開始する運びとなりました。」

レブラミド[®]に関する EC の決定は、MDS-004 および MDS-003 試験の結果で確認されたとおり、適応症の患者群における肯定的なベネフィット・リスク比に基づいています^{4,5}。MDS-004 試験は、多施設共同の第 III 相無作為化二重盲検プラセボ対照臨床試験です⁵。主要評価項目である輸血非依存性（182 日以上）を達成した患者さんの割合において、レナリドミド 10 mg 群がプラセボ群よりも有意に高いことが示されました（レナリドミド群 55.1%、プラセボ群 6.0%）⁵。5 番染色体長腕部欠失単独異常を有し、レナリドミド 10 mg の投与を受けた患者さん 47 人のうち、27 人（57.4%）が赤血球輸血非依存性を達成しました¹。

今回の決定は、2013 年 4 月に欧州医薬品庁（EMA）の医薬品委員会（CHMP）が示した肯定的見解を受けたものです⁶。

レブラミド[®]は、EU 諸国で各国の要件に従って発売されますが、ドイツが最初の発売国となる予定です。

なお、レブラミド[®]は、日本では、再発又は難治性の多発性骨髄腫及び 5 番染色体長腕部欠失を伴う MDS の効能・効果で 2010 年に承認、発売されております。

<参考文献>

1 Revlimid Summary of Product Characteristics

2 Kurzrock R. Semin Hematol 2002; 39(Suppl 2): 18-25

3 Giagounidis A. 2006; haematologica reports 2006; 2(issue 14)

4 List A, et al. N Engl J Med 2006; 355(14): 1456-65 17

5 Fenaux P, et al. Blood 2011; 118(14): 3765-76

6 European Medicines Agency, Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP). Summary of opinion - Revlimid.

http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/human/medicines/000717/smops/Positive/human_smop_000439.jsp&mid=WC0b01ac058001d127 [last accessed June 2013]

<ご参考>

レブラミド[®]について

「レブラミド[®]」（一般名：レナリドミド）は IMiDs[®]と総称される一連の新規免疫調節薬のひとつで、サイトカイン産生調節作用、造血器腫瘍細胞に対する増殖抑制作用及び血管新生阻害作用を持つと考えられています。

日本での効能・効果は以下の通りです。

- ・再発又は難治性の多発性骨髄腫
- ・5 番染色体長腕部欠失を伴う骨髄異形成症候群

本剤は、ヒトでの催奇形性を有する可能性があることから、日本では胎児への曝露を避けるため、レブラミド[®]適正管理手順「レブメイト[®]」を定め、医療関係者、患者さんご家族等全ての関係者が遵守することとなっています。

5 番染色体長腕部欠失の染色体異常について

染色体（細胞遺伝学的）異常は、骨髄異形成症候群（MDS）患者さんの約半数に認められ、1 つ以上の特定の染色体に関係します。MDS で見られる最も一般的な細胞遺伝学的異常は、5 番、7 番、および 20 番染色体長腕部の欠失です。その他の一般的な異常は、8 番染色体の過剰です。5 番染色体長腕部欠失は最もよく認められる異常であり、細胞遺伝学異常を伴う MDS 患者さん全体の 20～30%に見られます。

セルジーン社について

セルジーン社は、米国ニュージャージー州に本社を置くグローバル医薬品企業で、主に血液疾患、がん及び免疫・炎症性疾患領域における画期的な新薬の創薬、開発及び販売を行っています。詳細な情報に関してはセルジーン社のウェブサイト (www.celgene.com) をご参照ください。

本リリースは、既知のリスクと予見できないリスク、遅延、不確実性など会社としてコントロールできない将来予測に関する記述を含んでいます。実際の実績、業績、成果などは、将来予測に関する記述の予想と大きく異なる可能性があります。将来予測の記述と異なる実際の実績、業績や成果の要因については米国証券取引委員会に提出した Form10-K、10-Q、8-K 報告書に記載しております。これらのリスクと不確実性を考慮し、将来予測の記述に対して過度に信頼しないよう忠告いたします。