



2017年10月12日

各位

会社名： 小野薬品工業株式会社
代表者名： 代表取締役社長 相良 暁
(コード: 4528 東証第一部)
問合せ先： 執行役員広報部長 谷 幸雄
(TEL: 06-6263-5670)

米国カリオフาร์ม社と XPO1 阻害剤「Selinexor」および 第二世代 XPO1 阻害剤「KPT-8602」に関するライセンス契約を締結

小野薬品工業株式会社（本社：大阪府中央区、代表取締役社長：相良暁、以下、当社）と Karyopharm Therapeutics Inc.（マサチューセッツ州ニュートン、最高経営責任者：Michael Kauffman、以下、カリオフาร์ม社）は、カリオフาร์ม社が開発中のファーストインクラスの経口 XPO1（エクスポートイン 1）阻害剤「Selinexor」および第二世代の経口 XPO1 阻害剤「KPT-8602」について、すべての癌腫を対象に、日本、韓国、台湾、香港および ASEAN 諸国（以下、当社テリトリー）で独占的に開発および商業化するライセンス契約を締結しましたので、お知らせいたします。

本ライセンス契約の締結に伴い、当社は、カリオフาร์ม社に契約一時金として 25 億円を支払うとともに、開発の進捗に応じたマイルストーンおよび売上高に応じたマイルストーンとして、総額で最大 191.5 億円を支払います。また、当社は当社テリトリーにおける両化合物の売上高に応じた二桁台の料率のロイヤリティをカリオフาร์ม社に支払います。さらに、当社は当社テリトリーにおける開発費用を負担することで、今後、実施される両化合物に関するすべてのグローバル臨床試験に参画する権利を有します。なお、カリオフาร์ม社は引き続き、当社テリトリー以外の地域において開発・商業化する権利を留保します。

当社の代表取締役社長である相良暁は、次のように述べています。「今回、がん領域において画期的新薬の研究・開発で実績のあるカリオフาร์ม社と、Selinexor および早期開発段階にある KPT-8602 について提携できたことを大変喜ばしく思っています。両化合物は、アジア諸国において重篤ながんに苦しんでおられる患者さんに対する新たな治療選択肢になるものと期待しています。」

カリオフาร์ม社の最高経営責任者である Michael G. Kauffman (M.D., Ph.D.) は、次のように述べています。「小野薬品は、日本でのオプジーボ®やカイプロリス®の開発・販売を通じてがん領域のリーダーシップを確立した企業であり、当社テリトリーにおいて、Selinexor および KPT-8602 の開発を進める上で最良のパートナーであると考えています。がん領域における

臨床開発および商業化について高く評価されている小野薬品と提携することは、両化合物に対する高い評価を示すものであると共に、我々は米国および欧州で後期開発段階にある **Selinexor** の試験を実施し、承認取得に専念することができます。我々は、新たな治療選択肢を必要とされているがん患者さんに一日でも早く両化合物をお届けできるよう小野薬品と協働していきます。」

Selinexor について

Selinexor (KPT-330) は、ファーストインクラスの経口の選択的核外輸送タンパク質阻害剤 (Selective Inhibitor of Nuclear Export、以下、**SINE™**) です。核外輸送タンパク質である **XPO1** (エクスポーティン 1) は、腫瘍抑制タンパク質を細胞の核内から核外に輸送することで腫瘍抑制タンパク質の機能を阻害し、がん細胞の増殖を促進します。**Selinexor** は、**XPO1** に結合してその機能を阻害します。その結果、細胞の核内に腫瘍抑制タンパク質が蓄積し、細胞の腫瘍抑制機能を再活性化および増強することで、正常細胞にはほとんど影響を与えず、がん細胞に選択的にアポトーシスを誘導すると考えられます。現在、多発性骨髄腫を対象としたボルテゾミブと低用量デキサメタゾンとの併用療法による第Ⅲ相無作為化試験 (**BOSTON** 試験)、低用量デキサメタゾンとの併用療法による試験 (**STORM** 試験)、および多発性骨髄腫の治療薬として承認されている種々の薬剤との併用効果を検証する試験 (**STOMP** 試験)、びまん性大細胞型 **B** 細胞リンパ腫を対象とした試験 (**SADAL** 試験)、脂肪肉腫を対象とした試験 (**SEAL** 試験) を含む、臨床中期および後期段階の複数の試験が実施されており、これまでに 2,200 人を超える患者が **Selinexor** の投与を受けています。カリオフาร์ม社は **Selinexor** の臨床開発に注力しており、上記の試験以外にも、第 I - Ⅲ相試験において、種々のがん腫を対象に、様々な治療法との併用効果の検証を実施及び計画しています。なお、他の臨床試験に関する情報は、www.clinicaltrials.gov をご覧ください。

KPT-8602 について

KPT-8602 は第二世代の経口の **SINE™** 化合物で、核外輸送タンパク質である **XPO1** と結合してその機能を阻害します。その結果、腫瘍抑制タンパク質が細胞の核内に蓄積し抗腫瘍効果を発揮します。非臨床試験により、**KPT-8602** は中枢移行率が非常に低く、毒性を抑えて抗腫瘍効果を維持できることが確認されています。

カリオフาร์ม社 について

カリオフาร์ม セラピューティクス社 (Nasdaq: KPTI) は、がんやその他の重篤な疾患の治療のために核輸送に関連する標的に対するファーストインクラスの画期的新薬の創薬および開発に注力している製薬企業です。カリオフาร์ม社の **SINE™** 化合物は、核外輸送タンパク質である **XPO1** に結合してこの機能を阻害します。**SINE™** 化合物は、種々のがん腫に対して単剤および併用療法で抗腫瘍効果を示されているだけでなく、神経変性疾患、炎症疾患、自己免疫疾患、いくつかのウイルス感染および創傷治癒のモデルにおいても薬効が示されています。カリオフาร์ม社は **Sharon Shacham** 医師により設立され、現在、複数の臨床および非臨床試験を実施しています。詳細な情報に関しては、www.karyopharm.com をご覧ください。