

2019年12月24日

各位

小野薬品工業株式会社

**カリオフาร์ม社、再発または難治性びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫患者の治療薬として
XPOVIO® (selinexor) の承認申請を米国食品医薬品局へ提出**

本資料は、小野薬品がライセンス契約している米国カリオフาร์ม社が 2019 年 12 月 23 日 (米国現地時間) に発表したプレスリリースを和文抄訳として提供するものです。和文抄訳の内容につきましては、英語原文が優先されます。英語原文のプレスリリースは、<http://investors.karyopharm.com/press-releases> をご参照ください。

プレスリリース本文、第一段落からの抜粋

(マサチューセッツ州ニュートン、2019 年 12 月 23 日) –Karyopharm Therapeutics Inc. (Nasdaq : KPTI、以下、カリオフาร์ม社) は、本日、ファーストインクラスの経口の選択的核外輸送 (SINE) タンパク質阻害剤である経口 XPOVIO® (selinexor) について、2 回以上の多剤併用療法での治療歴があり、CAR-T (キメラ抗原受容体修飾 T 細胞) 療法を含む幹細胞移植の不適格な再発または難治性びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫 (DLBCL) 患者の新しい治療薬として、迅速承認を求める承認申請 (NDA) を米国食品医薬品局 (FDA) へ提出したことを発表しました。XPOVIO は、FDA から同適応症で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 (優先審査) の両方の指定を受けています。

小野薬品工業とカリオフาร์ม社の提携について

当社は、2017 年 10 月に、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 (エクスポーティン 1) 阻害剤「Selinexor」および第二世代の経口 XPO1 阻害剤「Eltanexor/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ています。

Selinexor (ONO-7705) の国内開発状況について

Selinexor (ONO-7705) については、日本で多発性骨髄腫および非ホジキンリンパ腫を対象に第 I 相臨床試験を実施中です。

以上

<本件に関する問い合わせ>
小野薬品工業株式会社 広報部
TEL : 06-6263-5670
FAX : 06-6263-2950

本資料は、小野薬品がライセンス契約している米国カリオフาร์ม社が 2019 年 12 月 23 日（米国現地時間）に発表しました英語版プレスリリースの和文抄訳です。内容につきましては、英語原文が優先されます。

カリオフาร์ม社、再発または難治性びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫患者の治療薬として XPOVIO® (selinexor) の承認申請を米国食品医薬品局へ提出

（マサチューセッツ州ニュートン、2019 年 12 月 23 日）－Karyopharm Therapeutics Inc. (Nasdaq : KPTI、以下、カリオフาร์ม社) は、本日、ファーストインクラスの経口の選択的核外輸送 (SINE) タンパク質阻害剤である経口 XPOVIO® (selinexor) について、2 回以上の多剤併用療法での治療歴があり、CAR-T (キメラ抗原受容体修飾 T 細胞) 療法を含む幹細胞移植の不適格な再発または難治性びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫 (DLBCL) 患者の新しい治療薬として、迅速承認を求める承認申請 (NDA) を米国食品医薬品局 (FDA) へ提出したことを発表しました。XPOVIO は、FDA から同適応症で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 (優先審査) の両方の指定を受けています。

カリオフาร์ม社の創設者で、社長兼 Chief Scientific Officer である Sharon Shacham (Ph.D、MBA) は、次のように述べています。「今年の初めに、当社は再発または難治性の DLBCL 患者を対象に XPOVIO を評価する第 II b 相 SADAL 試験において注目すべき結果を報告しました。NDA で提出した最新の結果では、完全奏効率の 11.8%を含め奏効率は 28.3%であり、奏効期間の中央値は 9 カ月以上でした。これらのデータは、2 回の前治療後に DLBCL が進行し、治療選択肢が非常に限られている患者さんにとって新しいファーストインクラスの経口療法としての XPOVIO の可能性を強調しています。この 2 番目の NDA の提出は、カリオフาร์ม社にとって大きな成果であり、XPOVIO がまったく新たな患者さん集団の治療に向け一歩前進しました。我々は、XPOVIO の DLBCL プログラムに貢献いただきましたすべての患者さん、介護者の皆さんおよび治験医師の方々に心より感謝を申し上げます。この NDA の進捗状況に関する最新の情報を提供していきます。XPOVIO が承認されれば、再発または難治性のびまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫の患者さんの治療薬として最初で唯一の経口レジメンとなります。」

カリオフาร์ม社は、2020 年に同じ適応症で XPOVIO の条件付き承認を求める販売承認申請 (MAA) を欧州医薬品庁に提出する予定です。

XPOVIO® (selinexor) について

XPOVIO は、ファーストインクラスの経口の選択的核外輸送 (SINE) タンパク質阻害剤です。XPOVIO は、核外輸送タンパク質である XPO1 に選択的に結合して阻害することにより機能します。XPOVIO は、腫瘍抑制因子、成長制御および抗炎症タンパク質の核外輸送を遮断し、これらのタンパク質が細胞の核内に蓄積し、細胞内でそれらの抗腫瘍活性を増強します。これらのタンパク質が強制的に核内に留まることにより、重度の DNA 損傷を有する癌細胞が増殖し、無制限に分裂し続ける多数の発がん経路を防ぐことができます。4 回以上の治療歴があり、病状としては 2 剤以上のプロテアソーム阻害剤、2 剤以上の免疫調節剤および抗 CD-38 モノクローナル抗体の治療に抵抗性が認められた再発または難治性多発性骨髄腫 (RRMM) の成人患者の治療薬としてデキサメサゾンとの併用療法で 2019 年 7 月に FDA より迅速承認を取得したことに加え、カリオフาร์ม社は selinexor の条件付き承認を求める販売承認申請 (MAA) を欧州医薬品庁 (EMA) に提出しています。再発または難治性びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫 (DLBCL) 患者の新しい治療薬として、selinexor の迅速承認を求める承認申請を FDA に提出しました。Selinexor は、SADAL 試験で評価

された患者集団で FDA によりファストトラックおよびオーファンドラッグに指定されました。Selinexor は、様々ながん腫を対象に他にも複数の中期および後期臨床試験において評価されています。その中には、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ピボタル無作為化第Ⅲ相試験（BOSTON 試験）、多発性骨髄腫の治療薬として承認されている治療薬との併用療法試験（STOMP 試験）、脂肪肉腫を対象とした試験（SEAL 試験）および子宮内膜がんを対象とした試験（SIENDO 試験）などがあります。その他にも、カリオファーム社における selinexor の臨床開発の優先順位を示す様々ながん腫を対象に承認された治療法との併用療法での複数の試験を含め、第Ⅰ - Ⅲ相試験を実施および計画しています。なお、selinexor の臨床試験に関する他の情報は、www.clinicaltrials.gov をご覧ください。

XPOVIO の重要な安全性情報について

米国での XPOVIO の重要な安全性情報については、原文リリースをご参照ください。

カリオファーム社について

カリオファーム セラピューティクス社 (Nasdaq: KPTI) は、がんやその他の重大な疾患の治療のために核輸送およびそれ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、開発および商業化に注力しているがん領域に焦点を当てた製薬企業です。カリオファーム社の選択的核外輸送 (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。2019 年 7 月に、カリオファーム社のリード化合物である XPOVIO® (selinexor) は、重度の多発性骨髄腫患者の治療薬としてデキサメタゾンとの併用療法で FDA より迅速承認を取得しました。現在、同適応症での selinexor の販売承認申請は、欧州医薬品庁 (EMA) で審査されています。カリオファーム社は、再発または難治性びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫 (DLBCL) 患者に対して、XPOVIO の迅速承認を求める承認申請を FDA に提出しました。Selinexor は、様々ながん腫に対して単剤および併用療法で抗腫瘍効果が示されているだけでなく、SINE 化合物は、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。カリオファーム社は、現在、複数の臨床試験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。