ONO PHARMA

Press Release

2026 年 11 月 5 日

各位

小野薬品工業株式会社

真性多血症を対象として開発中の Sapablursen、欧州でも Orphan Medicinal Product Designation の指定を取得
―第 3 相臨床試験デザインを第 68 回米国血液学会年次総会にて発表―

- 真性多血症を対象に欧州、米国および日本で希少疾病用医薬品の指定を取得
- 真性多血症を対象としたグローバル第 3 相臨床試験（INTREPID 試験）のデザインを、第 68 回米国血液学会年次総会で発表

小野薬品工業株式会社（本社：大阪市中央区、代表取締役社長 COO：滝野 十一、以下「当社」）は、sapablursen（ONO-0530）が、真性多血症（PV）を対象として 2026 年 10 月には欧州において Orphan Medicinal Product Designation の指定を取得したことを発表します。米国では、2024 年 1 月に Fast Track Designation、2024 年 8 月に Orphan Drug Designation、2025 年 5 月に Breakthrough Therapy Designation の指定を米国食品医薬品局（FDA）より受けています。さらに、日本では 2026 年 9 月に希少疾病用医薬品の指定を取得しています。

また、当社米国子会社の Deciphera 社が実施している sapablursen の PV 患者を対象としたグローバル第 3 相臨床試験（INTREPID 試験）の試験デザインを 12 月 12～15 日にルイジアナ州ニューオリンズで開催される第 68 回米国血液学会年次総会において、ポスター発表します。

発表内容は、下記の通りです。

演　題：Trial in Progress: INTREPID: A global, randomized, double-blind, placebo-controlled Phase 3 study of sapablursen in patients with phlebotomy-dependent polycythemia vera
発表者：Pankit Vachhani, M.D., Associate Professor of Medicine at O'Neal Comprehensive Cancer Center, University of Alabama at Birmingham
発表形式： ポスター発表
発表日時：2026 年 12 月 13 日（日）　午後 6:00 - 8:00 （米国中部時間）
ポスター番号：3771

Sapablursen について

Sapablursen は、Ionis 社によって創製・開発された TMPRSS6（ヘプシジン産生を負に調節する因子）を標的としたアンチセンス核酸医薬です。TMPRSS6 の産生を抑制し、鉄恒常性の主要な調節因子であるヘプシジンの産生を増加させます。ヘプシジンの発現を増加させることにより、sapablursen は PV を始めとして様々な血液疾患の治療薬となる可能性があります。

真性多血症（PV）について

PV は、赤血球の過剰産生を特徴とし、生命を脅かす可能性のある希少な血液疾患です。特に肺、心臓、脳などの重要な臓器で重篤な血栓のリスクが大幅に増加します。PV の主な治療目標は、血中ヘマトクリット値を 45%未満に維持し、血栓性イベントを防ぎ、重度の疲労、集中力の低下、夜間の発汗、かゆい症状などの負担を軽減することです。現在の治療法では、重度の症状や血中ヘマトクリット値のコントロールが不十分である PV 患者が存在します。

Deciphera Pharmaceuticals Inc.について

当社のグループ会社である Deciphera 社は、人々がより長く健康に生きられるよう革新的な医薬品の開発、販売に注力するバイオ医薬品企業です。先進的なキナーゼ阻害薬を始め、データ分析、AI を活用とした創薬技術などの最先端技術を活用して、当社の重点領域であるがん、免疫・炎症、神経領域の革新的な医薬品研究および、開発を加速させています。本社はマサチューセッツ州ウォルサムに置いており、カンザス州ローレンスに研究施設を設けています。Deciphera 社は米国および欧州での当社事業の拡大を主導しており、当社製品のグローバル販売と強固なパイプラインの臨床開発の推進を図っています。詳細については、www.deciphera.com をご覧いただくか、LinkedIn および X（@Deciphera）でフォローしてください。

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