

2011年9月29日

各位

小野薬品工業株式会社

米国における次世代プロテアソーム阻害剤 [カーフィルゾミブ] の  
再発難治性多発性骨髄腫を適応とする新薬承認申請について

Onyx Pharmaceuticals, Inc. (以下、オニクス社) は、2011年9月28日 (米国現地時間)、次世代プロテアソーム阻害剤カーフィルゾミブについて、米国食品医薬品局 (FDA) に再発難治性多発性骨髄腫を適応とする新薬承認申請を行ったと発表しましたのでお知らせいたします。

次頁以降にオニクス社が発表したプレスリリース資料 (和訳版) を添付しておりますので、ご参照下さい。

なお、国内では2010年9月に締結したライセンス契約\*に基づき、当社が現在、再発又は難治性の多発性骨髄腫患者を対象としてカーフィルゾミブを評価するフェーズ I/II 試験を実施しております。

\*当社は、現在オニクス社が欧米で開発中の二つのプロテアソーム阻害剤 (カーフィルゾミブ (注射剤) と ONX0912 (経口剤)) について、全癌種を対象に日本で独占的に開発・商業化する権利を取得しております。

以上

< 本件に関する問い合わせ先 >

小野薬品工業株式会社広報室

TEL : 06-6263-5670

FAX : 06-6263-2950

この資料は、オニキス社が 2011 年 9 月 28 日（米国現地時間）に発表したプレスリリースを日本語訳したものであり、この資料の内容および解釈については同社の英語原文が優先されます。



**オニキス社、カーフィルゾミブの再発難治性多発性骨髄腫を適応とする新薬承認申請を提出**

カリフォルニア州南サンフランシスコ-2011 年 9 月 28 日- オニキス社 (Nasdaq: ONXX) は本日、次世代の選択的プロテアソーム阻害剤であるカーフィルゾミブについて、再発難治性多発性骨髄腫患者の治療を適応とし、迅速承認審査制度の下、米国食品医薬品局 (FDA) に対する新薬承認申請 (NDA) を完了したことを発表しました。さらに、オニキス社は、FDA の審査期間を短縮させる優先審査を要請しました。

オニキス社の研究・開発・技術上級副社長である Ted W. Love 医学博士は以下のように述べています。「我々は、NDA 資料に含まれる有効性及び安全性のデータが、再発難治性多発性骨髄腫を対象としたカーフィルゾミブの迅速承認に対する説得力のある根拠となることを信じています。この 10 年間で多発性骨髄腫の治療は大きく進歩しましたが、本疾患は一様に致死的な疾患であり、新規治療法に対するニーズを浮き彫りにしています。」

NDA 逐次申請は、カーフィルゾミブが FDA によってファストトラック指定を受けたのち、2011 年 1 月に開始され、オニキス社は非臨床に関する資料を提出しました。ファストトラック指定は、重篤または生命に関わる疾患や、医学的ニーズが満たされていない疾患を対象とした治療薬の開発及び審査を促進するために、FDA によって制定された制度です。

#### **フェーズ II b 003-A1 試験について**

NDA 申請は非盲検単群フェーズ II b 試験である 003-A1 試験に基づき行われました。本試験は、ボルテゾミブ、サリドマイド又はレナリドミドを含む少なくとも 2 回以上の前治療歴を有する再発難治性多発性骨髄腫患者 266 名を対象に評価しました。治療抵抗性は、25%以下の奏効、治療期間中の病勢進行、治療完了後 60 日以内の病勢進行と定義しました<sup>1)</sup>。主要評価項目は全奏効率 (ORR) とし、副次評価項目には奏効期間、臨床有用率、全生存期間、無増悪期間、

無増悪生存期間、安全性が含まれました。NDA 申請には、その他のカーフィルゾミブの臨床試験の安全性データも含まれました。

### カーフィルゾミブ開発プログラムについて

単剤又は他剤との併用として、カーフィルゾミブの臨床試験がいくつか進行中です。

- **ASPIRE** 試験として知られているフェーズⅢ試験は、1～3 回の前治療歴を有する再発多発性骨髄腫患者を対象にカーフィルゾミブ+レナリドミド+低用量デキサメタゾン併用療法とレナリドミド+低用量デキサメタゾン併用療法を評価しています。当社は、**ASPIRE** 試験のデザイン及び計画している解析について、**Special Protocol Assessment** の下、FDA と合意しております。
- 欧州における承認を後押しするための **FOCUS** 試験と呼ばれるフェーズⅢ試験は、3 回以上の前治療歴を有する再発難治性多発性骨髄腫患者を対象にカーフィルゾミブ単剤治療を評価しています。
- **004** 試験として知られているフェーズⅡ試験は、1～3 回の前治療歴を有する再発難治性多発性骨髄腫患者を対象にカーフィルゾミブ単剤治療を評価しています。
- **006** 試験として知られているフェーズⅠb/Ⅱ試験は、再発難治性多発性骨髄腫患者を対象にカーフィルゾミブ+レナリドミド+低用量デキサメタゾン併用療法を評価しています。
- ミシガン大学総合がんセンターで実施されている多発性骨髄腫研究コンソーシアム (MMRC) のフェーズⅠ/Ⅱ試験は、新たに多発性骨髄腫と診断された患者を対象にカーフィルゾミブ+レナリドミド+低用量デキサメタゾン併用療法を評価しています。
- 当社のパートナーである小野薬品が実施しているフェーズⅠ/Ⅱ試験は、日本人の再発又は難治性の多発性骨髄腫患者を対象にカーフィルゾミブの有用性を確認しています。
- 多発性骨髄腫研究財団 (MMRF) と協力し、米国の他の十分な治療がない再発難治性多発性骨髄腫患者を対象とした **Expanded Access Program** が開始されました。

### 多発性骨髄腫について

多発性骨髄腫は、2 番目に多い血液がんで、骨髄に存在する形質細胞の異常を認める疾患です。全世界で 18 万人 (新患は年間約 8.6 万人)<sup>2)</sup>、そのうち、米国で 5 万人以上 (新患は年間約 2 万人)<sup>3)</sup>が罹患しています。

## オニクス社について

オニクス社は、カリフォルニア州南サンフランシスコに本社を置く、がん及び他の重篤な疾患を罹患した患者の生活を改善させる革新的な治療の開発及び商業化に特化したグローバルバイオ医薬品企業です。オニクス社は、主要な分子経路を標的とした新規薬剤の開発に重点を置いています。オニクス社に関する更なる情報については、オニクス社ホームページ ([www.onyx-pharm.com](http://www.onyx-pharm.com)) をご覧下さい。

- 1) : Anderson et al. Clinically relevant end points and new drug approvals for myeloma. *Leukemia*. 2008. 22:231
- 2) : 国際がん研究機関「GLOBOCAN 2002 データベース」
- 3) : 米国国立がん研究所「2007年疫学調査」