

2018年10月10日

各位

米国食品医薬品局がカリオファーム社の
Selinexor の新薬承認申請を優先審査の対象として受理

本資料は、小野薬品がライセンス契約しているカリオファームセラピューティクス社が2018年10月5日（米国現地時間）に発表した英語版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、2018年10月5日）－Karyopharm Therapeutics Inc.（Nasdaq：KPTI、以下、カリオファーム社）は、本日、ファーストインクラスの経口核外輸送タンパク質阻害剤（SINE）である **Selinexor** について、5 剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の新規の治療薬として、米国食品医薬品局（FDA）が、優先審査の対象として迅速承認を要請する新薬承認申請（NDA）を受理したことを発表しました。FDA は、カリオファーム社の優先審査の要求を受理し、PDUFA（処方薬ユーザーフィー法）に基づく審査完了期日を2019年4月6日に設定しました。FDA の受理書には、FDA はこの申請を協議するために諮問委員会会議を開催する予定であることが記載されています。

カリオファーム社と小野薬品工業の提携について

当社は、2017年10月に、カリオファーム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）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、カリオフาร์ม セラピューティクス社が 2018 年 10 月 5 日に発表しましたプレスリリースの和文抄訳であり、内容につきましては英語原文が優先されます。

米国食品医薬品局がカリオフาร์ม社の Selinexor の新薬承認申請を優先審査の対象として受理

- 今回の申請は、5 剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の治療薬として、Selinexor の迅速承認を要請するものです。
- PDUFA (処方薬ユーザーフィー法) に基づく審査完了期日は、2019 年 4 月 6 日です。

(マサチューセッツ州ニュートン、2018 年 10 月 5 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核外輸送タンパク質阻害剤 (SINE) である Selinexor について、5 剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の新規の治療薬として、米国食品医薬品局 (FDA) が、優先審査の対象として迅速承認を要請する新薬承認申請 (NDA) を受理したことを発表しました。FDA は、カリオフาร์ม社の優先審査の要求を受理し、PDUFA (処方薬ユーザーフィー法) に基づく審査完了期日を 2019 年 4 月 6 日に設定しました。FDA の受理書には、FDA はこの申請を協議するために諮問委員会を開催する予定であることが記載されています。

カリオフาร์ม社の創設者であり、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。「経口 Selinexor が承認されれば、新規メカニズムおよび注目すべき臨床プロファイルを有する可能性を秘めた新規の治療薬として、5 剤抵抗性の非常に難治性の骨髄腫患者さんにとって、意義のある治療選択肢を提供するものと信じています。今回、NDA が優先審査の対象として受理されたことは、Selinexor のプログラムの顕著なマイルストーンを達成するとともに、さらにこの患者集団における高度のアンメットニーズがあることを示しています。当社は、審査期間中に FDA と連携していきます。」

FDA より販売承認が認可されれば、カリオフาร์ม社は 2019 年の上半期には米国で Selinexor を販売する計画です。また、2019 年初めに仮承認制度のもと販売承認申請を欧州医薬品庁に提出する計画です。

FDA による優先審査は、標準的な申請と比較して、重篤な疾患の治療、診断や予防において、安全性あるいは有効性に顕著な改善をもたらす可能性があると判断された医薬品に対して行われます。Selinexor は、5 剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の治療薬として、FDA から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) に指定されています。

Selinexor について

Selinexor 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です。Selinexor は、核外輸送タンパク質である XPO1 に結合して阻害することにより機能し、細胞の核内に腫瘍抑制タンパク質が蓄積します。これは、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。これまでに 2,600 人を超える患者さんが Selinexor の投与を受けています。2018 年 4 月および 9 月に、カリオフาร์ม社は 5 剤抵抗性の多発性骨髄腫患者を対象に Selinexor と低用量デキサメタゾンとの併用療法を評価した第 II b 相 STORM 試験の肯定的なトップラインデータを報告しま

した。Selinexor は、多発性骨髄腫でオーファンドラッグに、STORM 試験で評価された患者集団でファストトラックに指定されました。カリオフาร์ม社の経口 Selinexor の新薬承認申請 (NDA) は、FDA により優先審査の対象として受理され、現在、5 剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の新たな治療薬としての可能性が審査されています。また、カリオフาร์ม社は 2019 年初めに仮承認制度のもと販売承認申請 (MAA) を欧州医薬品庁 (EMA) に提出する計画です。Selinexor は、さまざま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な第Ⅲ相無作為化試験 (BOSTON 試験)、多発性骨髄腫の治療薬として承認されている薬剤との併用効果を検討する試験 (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) および医師主導による子宮内膜がんを対象とした試験 (SIENDO 試験) があります。その他にも、さまざま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相試験を実施及び計画しています。なお、臨床試験に関する他の情報は、www.clinicaltrials.gov をご覧ください。

多発性骨髄腫における Selinexor の迅速承認の可能性に関する詳細情報

FDA は、奏効率 (ORR) のような臨床的効果を予測すると考えられる代用評価項目や中間臨床評価項目に基づいて、重篤な疾患の治療および未だ満たされていない医療ニーズを満たす薬剤に対し、迅速な承認を可能にする迅速承認プログラムを制定しました。迅速承認は、FDA がカリオフาร์ม社へのフィードバックで繰り返し表明した迅速承認の申請時点で、既存の治療に対して有意義な治療上のベネフィットを提供する薬剤に対してのみ利用可能です。特に、多発性骨髄腫のような複数の利用可能かつ潜在的な新しい治療法がある疾患領域では、迅速承認は高い規制閾値をもたらします。FDA は、一般的なガイダンスに沿って、進行中のピボタルな第Ⅲ相 BOSTON 試験での完全承認に向けた無作為化試験の選択肢をカリオフาร์ม社に連絡し、迅速承認の場合、患者さんは承認されているすべての治療法を既に受けている必要があることをカリオフาร์ม社に伝えました。FDA のファストトラック指定は、重篤な疾患で満たされていない医療ニーズを満たす治療薬に利用可能です。カリオフาร์ม社は、特に STORM 試験で対象とされた患者集団に対して FDA からファストトラックの指定を受けています。STORM 試験の患者集団は、未だ満たされていない医療ニーズおよび 2018 年 4 月と 9 月に報告された肯定的なトプラインデータを代表するというこの認識に照らして、STORM 試験は迅速承認を FDA に要請することを裏付けるものと思っています。

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、さまざま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、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。

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