

本プレスリリースは、Verastem 社（米国マサチューセッツ州ケンブリッジ）が 2013 年 9 月 24 日（現地時間）に発表したものを日本語に翻訳したものです。

Verastem 社、日本国内で Defactinib の臨床第 I 相試験を開始

アジア初のがん幹細胞を標的とした FAK 阻害薬治験

米国マサチューセッツ州ケンブリッジ（2013 年 9 月 24 日） - がん幹細胞の標的とした抗がん剤の開発を行っている Verastem 社（NASDAQ: VSTM）は、日本人の進行固形癌患者を対象とした FAK（Focal Adhesion Kinase：焦点接着班キナーゼ）阻害剤である Defactinib（VS-6063）の臨床第 I 相試験を開始したことを本日公表した。FAK はがん幹細胞の増殖及び生存に必須の反応経路であり、当該試験は Verastem 社の日本における開発戦略の幕開けとなる。

近畿大学医学部附属病院（大阪府）で行われる非盲検用量漸増第 I 相試験は、Defactinib 単剤投与における安全性評価、薬物動態および薬力学解析を主要評価項目とすることを目的としてデザインされており、同試験には最大 12-18 例の進行固形がん患者が登録される予定である。第 I 相試験の成功結果を待つ間、Verastem 社は日本の他の臨床施設を COMMAND 試験（最近開始された悪性胸膜中皮腫患者を対象とした Defactinib のグローバル臨床第 II 相試験）に追加施設登録することを検討中である。また、その他の開発戦略も計画中である。

Verastem 社の最高医学責任者 Joanna Horobin 氏は「この試験を開始することは Verastem 社にとって、そして薬剤候補として現在 5 大陸 12 カ国の施設で研究が成されている Defactinib にとって非常に重要な意味を持つ出来事となるだろう」とコメントし、「米国での第 I 相試験において Defactinib は早い段階での有効性と良好な忍容性が認められた。この試験データに基づき、我々がヨーロッパや米国で行っている取り組みと並行して、日本においても登録へ向けた第一歩を踏み出せることを期待している。」と述べた。

近畿大学医学部内科学講座腫瘍内科部門教授であり、日本における Defactinib 開発の治験調整医師でもある中川和彦氏は「米国とヨーロッパでの治療開発と同時進行で日本においても Defactinib の開発が行われることは非常に画期的である」とコメントし、「近畿大学腫瘍内科では、Defactinib のように日本のがん患者への治療に大きなインパクトを持つ可能性のある新薬の開発促進に全力を尽くしています」と述べた。

日本における新しいがん治療薬の開発に関してこれまでは、米国やヨーロッパでの開発状況と比較してほとんどの薬剤の開発着手には遅れが生じていた。Verastem 社では世界中の患者に Defactinib を一日も早く届けるために Defactinib 開発の地理的拡大を推進している。

同臨床第 I 相試験の治験責任医師である清水俊雄氏（近畿大学医学部内科学講座腫瘍内科部門講師）は「がん幹細胞を標的とした Defactinib の第 I 相試験に携われることは我々にとって大変な喜びです」とコメントし、「Robert Weinberg 教授のがん幹細胞における FAK（接着班キナーゼ）の役割に関する科学的新発見に基づき、Verastem 社は腫瘍の進行や再発の根本的原因を解決するためにがん治療の新しいアプローチを実践し始めている」と述べた。

Verastem 社執行役員の Christoph Westphal 氏は「日本における悪性中皮腫の発生率は急上昇しているため、この致死率の高い疾患に対する新しい治療法の開発は急務である」とコメントし、「この試験が日本において開始されることは Verastem 社が掲げる、世界中のがん患者の生活に変革をもたらす新薬を届けるというミッションを強く表すものである」と述べた。

Defactinib について

Defactinib (VS-6063)は接着班キナーゼ (FAK) の阻害によってがん幹細胞を殺傷することを目的としてデザインされた経口化合物です。がん幹細胞は化学療法への耐性、再発、増悪の原因の一つとされています。Verastem 社の Scientific Advisory Board の一員であり共同創設者でもある Robert Weinberg 博士と Verastem 社の研究によって、FAK 経路はがん幹細胞の増殖と生存に重要な役割を果たしているということが示されました。Defactinib について現在海外では、悪性中皮腫に対する COMMAND 試験、卵巣癌に対する第 I 及び I b 相試験、日本での進行固形がんに対する第 I 相試験において研究が進められています。KRAS 変異型非小細胞肺癌を対象とした第 II 相試験 (海外) は 2013 年の第 3 四半期に開始される見込みであり、Defactinib は米国とヨーロッパでの悪性中皮腫患者への使用において、希少疾病用医薬品指定 (orphan drug designation) を受けています。

Verastem 社について

Verastem 社(NASDAQ: VSTM)は、がん幹細胞の選択的殺傷によるがん治療の薬剤開発を行っております。がん幹細胞は腫瘍の再発、転移の根底にある原因とされています。Verastem 社ではがん幹細胞の生存と増殖に必要なシグナル伝達経路 (FAK, PI3K/mTOR,Wnt) を阻害する低分子阻害剤を現在開発中です。詳しくはホームページをご参照下さい。 www.verastem.com.

将来予想に関する記述

このプレスリリースには当社の戦略、将来の計画と展望 (VS-6063, VS-4718, VS-5584 など開発中の化合物に関する記述、FAK, PI3K/mTOR そしてその他の一般的な診断プログラム、臨床開発へ向けたタイムライン、化合物の規制上の承認、現在進行中の試験の結果報告時期の見込み、計画された臨床試験や保留中の臨床試験の構成、当社が試験を遂行するための財政見積もり) など、将来予想に関する記述が含まれています。「予想する」「見える」「信じる」「見積もる」「期待する」「意図する」「かもしれない」「計画する」「予期する」「企画する」「標的とする」「可能性」「～するだろう」「～し得る」「～すべき」「～し続ける」や、その他の類似した表現は将来予想に関する記述として使用されています。

(全ての将来予想に関する記述が必ずしも上記の表現を含むわけではありません) 将来予想に関する記述で明示的または黙示的に示された内容と実際に生じる結果とは大きく異なる可能性があります。不確実な要素として、化合物の前臨床試験と臨床試験の予備データは必ずしもその後の臨床試験の結果を正確に予測するものではありません。データが欲しい時に利用可能でない場合や、当社が VS-6063, VS-4718 and VS-5584 などの化合物の臨床試験を完遂不可能となる場合や、化合物の開発に予想以上の時間と費用がかかる場合や、化合物が最終的に規制上の承認を受けられず製品として販売されない場合があります。その他の危険性や不確実性としては、2012 年 12 月 31 日で終了した会社の年報 10-K フォームの中の "Risk Factors" の項目に記載がされています。その後の SEC ファイルの中にも記載があります。このプレゼンテーションの中に含まれる将来予想に関する記述は将来のイベントに関して当社の現段階での視点を反映したものであり、当社はこれらの記述を更新または訂正する義務はいつさい負いません。

Verastem 社連絡先

Brian Sullivan, 617-252-9314

bsullivan@verastem.com

Verastem 社広報事務局 (株式会社コスモ・ピーアール内)

担当: 岩谷/山口

TEL: 03-5561-2915 Email: verastem@cosmopr.co.jp