



SOLVE
ON.

プレスリリース

本記者発表文の公式バージョンはオリジナル言語版です。翻訳言語版は、読者の便宜を図る目的で提供されたものであり、法的効力を持ちません。翻訳言語版を資料としてご利用になる際には、法的効力を有する唯一のバージョンであるオリジナル言語版と照らし合わせていただくようお願いいたします。

報道関係者各位

インサイト・バイオサイエンシズ・ジャパン合同会社、 胆管がん治療薬としてペミガチニブの国内製造販売承認を申請したと発表

—ペミガチニブは厚生労働省により「希少疾病用医薬品」に指定済み—

東京—2020年9月14日—インサイト・バイオサイエンシズ・ジャパン合同会社（本社：東京都千代田区、General Manager: Lothar Finke、以下「インサイト・ジャパン」）は本日、選択的な線維芽細胞増殖因子受容体（FGFR）阻害剤であるペミガチニブについて、*FGFR2* 融合遺伝子陽性の局所進行または転移性胆管がん患者の治療薬として、国内製造販売承認申請（J-NDA）を医薬品医療機器総合機構（PMDA）に提出したと発表しました。ペミガチニブは同適応症に対し、厚生労働省による「希少疾病用医薬品」の指定も受けています。

Incyte Asia の General Manager である Lothar Finke (M.D., Ph.D.) は、「日本での国内製造販売承認の申請は、アンメットメディカルニーズの高い希少疾患である胆管がんに罹患した日本人患者さんにペミガチニブをお届けするための非常に重要な一歩です。ペミガチニブが希少疾病用医薬品に指定されたことについて厚生労働省に心から感謝し、今後も PMDA と緊密に連携し、審査に協力させていただき所存です。」と述べています。

希少疾病用医薬品とは、国内の患者数が 50,000 人未満で、メディカルニーズの高い希少疾患の治療薬として開発中の化合物に対し、厚生労働大臣が指定するものです¹。希少疾病用医薬品として指定されることで、国内製造販売承認の優先審査の対象となり、より迅速に医療現場へお届けできるようになります¹。

ペミガチニブについて

ペミガチニブは、FGFR のアイソフォーム 1、2、3 に対する強力かつ選択的な経口阻害剤で、非臨床試験では、*FGFR* 変異を有するがん細胞に対する選択的な薬理活性を示しています。

ペミガチニブは Incyte Corporation（本社：米国デラウェア州、ナスダック：INCY、以下「インサイト」）によって発見されました。米国では、米国食品医薬品局（FDA）承認の検査法により *FGFR2* 融合遺伝子または遺伝子再構成が検出され、治療歴を有する、切除不能な局所進行または転移性胆管がんの成人患者の治療薬として、FDA の製造販売承認を受け²、販売名：

Pemazyre[®]（一般名：ペミガチニブ）として販売されています²。また欧州では、1サイクル以上の全身療法後に再発もしくは難治性と診断され、*FGFR2* 融合遺伝子または遺伝子再構成を認める局所進行または転移性胆管がんの成人患者の治療薬として、欧州医薬品庁（EMA）による医薬品販売承認申請（MAA）の審査が行われています。

さらに胆管がん以外にも、膀胱がんなどの固形腫瘍や、8p11 骨髄増殖症候群を有する患者を対象としたペミガチニブの企業主導試験が、複数進行中です（FIGHT [Fibroblast Growth factor receptor in oncology and Hematology Trials：腫瘍と血液疾患の分野における線維芽細胞増殖因子受容体に関する試験] 臨床試験プログラム）。

インサイトは中国本土、香港、マカオ、台湾での、血液領域および腫瘍領域でのペミガチニブの開発および販売に関する権利を、Innovent Biologics, Inc.社に付与しました。米国外におけるペミガチニブの開発および販売に関するその他の権利は、すべてインサイトが保持します。

インサイトについて

インサイトは、米国デラウェア州ウィルミントンに本社を置く、グローバルなバイオ医薬品企業です。自社開発治療薬の創薬、開発、販売を通じて、最も重要なアンメットメディカルニーズへのソリューションの追及に全力を尽くしています。インサイトに関する詳細な情報は、当社ウェブサイト（[Incyte.com](https://www.incyte.com)）または当社ツイッター（[@Incyte](https://twitter.com/Incyte)）をご覧ください。

インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社に関する詳細は、[Incyte.jp](https://www.incyte.jp) をご覧ください。

将来の見通しに関する記述

本プレスリリースに記載されている過去の情報を除き、本プレスリリースに記載されている事柄には、ペミガチニブが、*FGFR2* 融合遺伝子を有する局所進行または転移性胆管がん患者の治療薬として日本国内で承認される可能性やその時期、対象患者の治療選択肢となる可能性やその時期、またペミガチニブの今後の開発についての予測や推定、その他の将来の見通しに関する記述が含まれます。

こうした将来の見通しに関する記述は、当社の現時点での予測に基づくもので、リスクや不確実性から、実際の結果が大きく異なる場合があります。またそうしたリスクや不確実性には、予想外の展開およびリスクとして、予期しない遅滞、今後の研究開発や臨床試験結果が薬事承認基準を満たして開発継続を保証することに失敗するか不十分なものとなる可能性、臨床試験のための十分な症例数の組み入れ能力、FDA、EMA、PMDA または厚生労働省による決定、提携パートナーとの関係への当社の依存度、当社の製品や提携パートナーの製品の有効性および安全性、当社の製品や提携パートナーの製品の市場における受容度、市場における競合状況、販売・マーケティング・製造・流通の要件、予想を上回る経費、訴訟や戦略的活動に関連する経費、米国証券取引委員会に提出した報告書（2020年6月30日締め四半期に関するフォーム 10-Q に記載した四半期報告書を含む）で随時詳述したその他のリスクがあります。当社にはこうした将来の見通しに関する記述を更新する意図はなく、その義務も負いません。

免責条項

本プレスリリースに記載された医薬品の情報は、インサイトの企業情報の開示を目的としたものであり、開発中の医薬品を含むいかなる製品の広告や販売促進を意図するものではありません。

参考文献

1. 「希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品の指定制度の概要」
厚生労働省の URL : <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>
2. Pemazyre[®] (pemigatinib) [Package Insert]. Wilmington, DE: Incyte; 2020.

###

インサイト問い合わせ先

メディア関係者

Catalina Loveman +1 302 498 6171
cloveman@incyte.com

投資家の皆様

Michael Booth (Ph.D.) +1 302 498 5914
mbooth@incyte.com

メディア関係者（日本）

インサイト・バイオサイエンシズ・ジャパン合同会社広報事務局担当
(株式会社コスモ・ピーアール)

狩野 美貴 +81 3 5561 2915
Incyte@cosmopr.co.jp