



SOLVE  
ON.

## プレスリリース

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、 FGFR1 融合遺伝子陽性の骨髄性又はリンパ性腫瘍に対するペミガチニブの 適応拡大承認申請の提出を発表

—ペミガチニブにおける2度目の希少疾病用医薬品の指定—

東京—2022年8月8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、ジェネラルマネージャー：ローター・フィンケ、以下「インサイト・ジャパン」）は本日、選択的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、FGFR1 融合遺伝子陽性の骨髄性又はリンパ性腫瘍（8p11 骨髄増殖症候群）の治療薬として、適応拡大承認申請を独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）に提出したことを発表しました。

米国デラウェア州ウィルミントンに本社を置くインサイト・コーポレーション（以下「インサイト」）のアジア地域を統括する、インサイト・ジャパンのジェネラルマネージャー、ローター・フィンケ（M.D., Ph.D.）は、次のように述べています。「FGFR1 融合遺伝子陽性の骨髄性又はリンパ性腫瘍に対するペミガチニブの適応拡大承認申請が厚生労働省に提出され、また希少疾病用医薬品の指定を受けたことを大変喜ばしく思います。今回の申請は、この希少疾患に苦しむ患者さんに新しい治療薬をお届けする上で大きな一歩となります。日本での承認審査を進めるため、PMDA と緊密に連携して参ります。」

ペミガチニブは、FGFR1 融合遺伝子陽性の骨髄性又はリンパ性腫瘍の治療薬候補として、厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けました。同様に希少疾病用医薬品の指定を受けるのは、2度目となります。厚生労働省は、国内患者数が50,000人未満で、メディカルニーズが高い希少疾患の治療薬として開発中の化合物に対し、希少疾病用医薬品の指定を付与します<sup>1</sup>。希少疾病用医薬品に指定された医薬品は、製造販売承認の優先審査の対象となり、医療現場へのより迅速な提供が図られます<sup>1</sup>。

FGFR1 融合遺伝子陽性の骨髄性又はリンパ性腫瘍は、きわめてまれな血液がんの1つで染色体のFGFR1 遺伝子が存在する領域（8番染色体短腕11-12領域：8p11-12領域）が切断され、別の染色体の断片（遺伝子）と融合した染色体異常（転座）によって引き起こされます。さまざまなパートナー遺伝子がFGFR1 チロシンキナーゼの活性化を誘導し、その結果、がん細胞の増殖と生存に影響を及ぼします。病型は骨髄増殖性腫瘍（MPN）、骨髄異形成症候群（MDS）/MPN、又は急性骨髄性白血病（AML）、前駆T又はBリンパ芽球性白血病/リンパ腫、あるいは混合表現型急性白血病（MPAL）など多彩です。予後は不良で、治癒あるいは長期寛解を期待できる治療選択肢は、現在、同種造血幹細胞移植のみとされており、標準治療は確立されておられません。

#### ペミガチニブについて

ペミガチニブはFGFR1、2、3に対して強力かつ選択的な阻害作用を有する経口阻害剤であり、非臨床試験ではFGFR 遺伝子異常を伴うがん細胞に対し選択的薬理活性を示しています。

インサイトが創製したペミガチニブは、米国では、米国食品医薬品局（FDA）承認の検査法によって *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、治癒切除不能な局所進行性または轉移性の成人胆管がんを適応症として2020年4月に承認を取得しています。

日本では、がん化学療法後増悪した *FGFR2* 融合遺伝子陽性の治癒切除不能な胆道癌の治療薬として、2021年3月に製造販売承認を取得しています。欧州では、1サイクル以上の全身療法後増悪した、*FGFR2* 融合遺伝子陽性または遺伝子再構成を認める局所進行性または轉移性成人胆管がん治療薬として承認を取得しています。

ペミガチニブは、米国、欧州、および日本で商品名「ペマジール<sup>®</sup>」として販売されています<sup>2</sup>。

インサイトは、ペミガチニブの中国本土、香港、マカオ、台湾での血液・腫瘍領域における開発・販売の権利を Innovent Biologics, Inc. に付与しています。これらの国・地域を除き、米国外でのペミガチニブの開発および販売に関する権利は、すべてインサイトに帰属します。

ペマジール<sup>®</sup> (Pemazyre<sup>®</sup>) はインサイトの登録商標です。

## 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) をご覧ください。

インサイト・バイオサイエンシズ・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は、ペミガチニブが *FGFR1* 融合遺伝子陽性の骨髄性又はリンパ性骨髄腫の治療薬として日本で承認される可能性やその時期および同疾患の治療選択肢となる可能性やその時期、またはペミガチニブのさらなる開発に関する記述など、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すことまたは開発継続を保證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を予定どおりに組み入れる能力、米国食品医薬品局 (FDA)、欧州医薬品庁 (EMA)、独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (PMDA)、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 (2022年3月31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。

## 免責事項

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

<sup>1</sup> 「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>

<sup>2</sup> Pemazyre® (pemigatinib) [Package Insert]. Wilmington, DE: Incyte; 2020.

## 本件に関するお問い合わせ先

### メディア関係のみなさま

Catalina Loveman

Executive Director, Public Affairs

Tel: +1 302 498 6171

[cloveman@incyte.com](mailto:cloveman@incyte.com)

### 投資家のみなさま

Christine Chiou

Senior Director, Investor Relations

Tel: +1 302 274 4773

[cchiou@incyte.com](mailto:cchiou@incyte.com)

### メディア関係のみなさま (日本)

インサイト・バイオサイエンス・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)

樋口

Tel: +81 3 5561 2915

[incyte@cosmopr.co.jp](mailto:incyte@cosmopr.co.jp)