



**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・コーポレーション、 ペマジール® (ペミガチニブ) の国内製造販売承認取得を発表 がん化学療法後に増悪した線維芽細胞増殖因子受容体 2 (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

米国デラウェア州ウィルミントン—2021年3月23日—インサイト・コーポレーション（ナスダック：INCY、以下「インサイト」）は本日、選択的線維芽細胞増殖因子受容体（FGFR）阻害剤であるペマジール®（一般名：ペミガチニブ、以下「ペマジール」）について、がん化学療法後に増悪した 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、厚生労働省による国内製造販売承認を取得したと発表しました。

インサイトのアジア地域を統括する、インサイト・バイオサイエンシズ・ジャパン合同会社（以下インサイト・ジャパン）ジェネラルマネージャーのローター・フィンケ（M.D., Ph.D.）は、次のように述べています。「このたびの厚生労働省によるペマジールの国内製造販売承認は、日本の胆道がんコミュニティにとって重要なマイルストーンとなるでしょう。胆道がんは、重い病態を有する希少疾患です。患者さんのアンメットメディカルニーズにソリューションを見つけ出して提供することに注力してきた当社のコミットメントを、ひとつ具現化することができました。今回日本でも当局による薬事承認が得られ、この新たな治療薬を、世界中のより多くの患者さんにお届けできるようになったことを誇りに思います。」

胆道がんのなかでも、胆管に発生する希少ながんである胆管がんは、肝臓内の胆管に発生する肝内胆管がんと、肝臓外の胆管に発生する肝外胆管がんに分類されます。胆管がんは、診断されたときにはすでに進行期または末期であることが多く、概して予後も不良です^{1,2}。FGFR2 融合遺伝子または遺伝子再構成とは、胆道がん患者の中で肝内胆管がんにはほぼ限定的に発生するもので、国内でまれに認められます^{3,4,5,6}。

今回の承認は、線維芽細胞増殖因子（FGF）または FGFR を認め、治療歴を有する、局所進行性または転移性の成人胆管がん患者を対象に、ペミガチニブの安全性と有効性を評価した FIGHT-202 試験のデータに基づいています。

日本では、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て、厚生労働大臣による「希少疾病用医薬品」指定制度があり⁷、ペミガチニブ

もその指定を受けていました。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。

FIGHT-202 試験について

FIGHT-202 試験 (NCT02924376) とは、*FGF*・*FGFR* を認め、治療歴を有する、局所進行性または転移性の成人胆管がん患者 (18 歳以上) を対象に、*FGFR* 阻害剤であるペミガチニブの安全性と有効性を評価する、非盲検、多施設共同、国際共同第 II 相臨床試験です。

この試験では、組み入れ患者を 3 群に割り付け (コホート A : *FGFR2* 融合遺伝子または遺伝子再構成を認める例、コホート B : その他の *FGF*・*FGFR* 遺伝的変異を認める例、コホート C : *FGF*・*FGFR* の遺伝的変異を認めない例)、全例にペミガチニブ 13.5mg を 1 日 1 回経口投与しました。投与は 21 日 (2 週間投薬・1 週間休薬) を 1 サイクルとして、放射線画像による疾患増悪または許容できない毒性が認められないかぎり継続されました。

この FIGHT-202 試験の主要評価項目は、コホート A の全奏効率 (ORR) であり、「固形がんの治療評価判定のための新ガイドライン (RECIST ガイドライン)」第 1.1 版に基づいて独立判定委員会により評価されました。副次評価項目は、全コホートでの ORR、無増悪生存期間 (PFS)、全生存期間 (OS)、奏効期間 (DOR)、病勢コントロール率 (DCR)、安全性でした。

FIGHT-202 試験の詳細については、<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02924376> をご覧ください。

FIGHT 臨床試験プログラムについて

FIGHT 臨床試験プログラム (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臨床試験) は、*FGFR* に起因する複数種類の悪性腫瘍を対象にペミガチニブの安全性と有効性を検討する臨床試験プログラムで、現在第 II 相および第 III 相試験を実施中です。ペミガチニブ単剤療法を評価する第 II 相試験は、本 FIGHT-202 試験のほかに、次のような疾患を対象として行われています。FIGHT-201 試験 : *FGFR3* 活性化変異や融合遺伝子・遺伝子再構成を伴う、転移性または切除不能な膀胱がん。FIGHT-203 試験 : 活性化 *FGFR1* 融合遺伝子・遺伝子再構成を有する骨髄増殖性腫瘍。FIGHT-207 試験 : 治療歴を有し、*FGFR* 活性化変異や融合遺伝子・遺伝子再構成を認める局所進行性・転移性・切除不能な固形悪性腫瘍 (腫瘍の種類は限定されない)。

FIGHT-302 試験は、*FGFR2* 融合遺伝子・遺伝子再構成を有する胆管がん患者を対象に、第一選択薬としてのペミガチニブを評価する第 III 相試験です。

ペマジュール® (一般名 : ペミガチニブ) について

ペマジュールはキナーゼ阻害剤であり、このたび、がん化学療法後に増悪した *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国内製造販売承認を取得しました。

米国では、米国食品医薬品局 (FDA) 承認の検査法⁸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転移性の成人胆管がんを適応症として、全奏効率および奏効期間に基づき、迅速承認制度の適用を受け 2020 年 4 月に承認を

取得しています。本適応症に対する承認継続の条件として、今後の検証試験での臨床的有用性の確認と記録が要件となる場合があります。

なお、FDAによる承認は、上述の FIGHT-202 試験から得られたデータに基づいています。コホート A (FGFR2 融合遺伝子または遺伝子再構成を認める群) に対してペマジール単剤療法を行った結果、主要評価項目である ORR は 36%、副次評価項目である DOR の中央値は 7.49 カ月を示しました。もっとも高頻度にみられた、治験薬投与後に発現した有害事象 (TEAE) は、高リン酸塩血症 (58.2%、重症度はいずれもグレード 2 以下) でした。そのほか高頻度 (全例の 30%以上) にみられた TEAE (全グレード) は、脱毛症、下痢、疲労、味覚不全、悪心、便秘、口内炎、口内乾燥、食欲減退で、その大半の重症度はグレード 2 以下でした。全例の 10%以上に発現した重症度グレード 3 以上の TEAE は、低リン酸血症 (12.3%) でした。

ペマジールは、FGFR 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あり、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。

インサイトは、すでに米国でペマジールを自社販売しており、日本でも自社販売を開始する予定です。中国本土、香港、マカオ、台湾での、血液・腫瘍領域でのペミガチニブの開発・販売に関する権利は、Innovent Biologics, Inc.社に付与されています。これらの国・地域を除き、米国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。

さらに、欧州医薬品庁 (EMA) のヒト用医薬品委員会 (CHMP) からは、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性または転移性成人胆管がん患者の治療薬として、ペミガチニブの条件付き販売承認を勧告する肯定的な意見が発表されています。

ペマジール (Pemazyre) 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](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、ペマジールが、FGFR2 融合遺伝子陽性を認める局所進行性または転移性胆管がん患者の治療選択肢となる可能性やその時期、またペマジール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、医薬品医療機器総合機構（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12月31日締め四半期に関するフォーム10-K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 Banales JM, et al. Nat Rev Gastroenterol Hepatol. 2016;13:261–280.

² Uhlrig J, et al. Ann Surg Oncol. 2019;26:1993–2000.

³ Liver Cancer White Paper 2015. Japan Society of Hepatology.

⁴ Nakamura H, et al. Nat Genet. 2015;47:1003–1010.

⁵ Jang H, et al. J Gastroenterol. 2020;26:6207–6223.

⁶ Japan Liver Cancer Study Group Follow-Up Survey Committee. The 20th National Primary Liver Cancer Follow-up Report (2008–2009). Liver. 2019;60: 258–293.

⁷ 「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>

⁸ 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

投資家のみなさま

Christine Chiou

Senior Director, Investor Relations

Tel: +1 302 274 4773

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)

狩野美貴

Tel: +81 3 5561 2915

Incyte@cosmopr.co.jp