

2024年8月16日

各位

小野薬品工業株式会社

**米国食品医薬品局が、腱滑膜巨細胞腫（TGCT）患者を対象とした
Deciphera社によるvimseltinib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、この患者集団においてvimseltinibがプラセボと比較して統計学的に有意かつ臨床的に意義のある奏効率を示した第3相MOTION試験の結果に基づいています。

米国食品医薬品局（FDA）は、審査終了の目標期日を2025年2月17日に指定しました。

欧州医薬品庁（EMA）は、Deciphera社によるvimseltinibの販売承認申請を受理しています。

小野薬品工業株式会社（本社：大阪市中央区、代表取締役社長：滝野 十一、以下「当社」）は、米国時間2024年8月14日に米国食品医薬品局（FDA）が当社の完全子会社であるDeciphera Pharmaceuticals, Inc.（米国マサチューセッツ州、以下「Deciphera社」）が開発中のコロニー刺激因子1受容体（CSF1R）阻害剤であるvimseltinibについて、腱滑膜巨細胞腫（TGCT）の治療薬として新薬承認申請（NDA）を優先審査の対象として受理したことをお知らせします。FDAは、処方箋薬ユーザーフィー法（PDUFA）に基づく、審査終了の目標期日を2025年2月17日に設定しました。7月中旬に欧州医薬品庁（EMA）はvimseltinibの販売承認申請（MAA）を受理し、EMAの中央審査プロセスを開始しました。

Deciphera社の社長兼CEOであるSteve Hoerterは、次のように述べています。「ピボタルな第3相臨床試験であるMOTION試験の肯定的な結果を踏まえ、EMAがvimseltinibの販売承認申請の審査を開始したことの直近の発表に続き、米国での審査プロセスが開始されることをうれしく思います。TGCT患者さんに新たな治療選択肢をお届けできるようFDAと協働してまいります。」

今回の申請は、抗CSF1/CSF1R療法による治療歴がなく（イマチニブまたはニロチニブによる治療は許容）、手術不適合のTGCT患者を対象にvimseltinibの有効性及び安全性をプラセボと比較評価するピボタルな第3相臨床試験であるMOTION試験の結果に基づいています。本試験において、vimseltinibは、プラセボと比較して、主要評価項目であるintent-to-treat（ITT）集団における固形がんの治療効果判定のためのガイドライン（RECIST v1.1）を用いた盲検独立放射線評価委員会（BIRR）の評価による25週時の奏効率（ORR）で、統計学的に有意かつ臨床的に意義のある改善を示しました（vimseltinib群40% vs プラセボ群0%、 $p < 0.0001$ ）。またvimseltinibは、プラセボと比較して、すべての重要な副次評価項目においても、統計学的に有意かつ臨床的に意義のある改善を示しました。本試験におけるvimseltinibの安全性プロファイルは、管理可能であり、第I/II相試験でこれまでに報告されたものと一貫していました*。MOTION試験の結果は、[2024年米国臨床腫瘍学会（ASCO）年次総会](#)で発表され、同時にLancet誌に掲載されました。

* : Gelberblom, et al. 2024 ASCO Annual Meeting

MOTION 試験について

MOTION 試験は、抗 CSF1/CSF1R 療法による治療歴がなく（イマチニブまたはニロチニブによる治療は許容）、手術不適応の TGCT 患者を対象に vimseltinib の有効性および安全性をプラセボと比較評価する無作為化二重盲検プラセボ対照第 3 相臨床試験です。本試験の主要評価項目は、intent-to-treat (ITT) 集団における固形がんの治療効果判定のためのガイドライン (RECIST v1.1) を用いた盲検独立放射線評価委員会 (BIRR) の評価による 25 週時の奏効率 (ORR) です。副次評価項目は、いずれも 25 週時に評価した腫瘍体積スコア (TVS) による ORR、関節可動域 (ROM)、身体機能、強張り、生活の質および疼痛です。

本試験は 2 つの Part で構成されています。Part 1 では、患者は vimseltinib またはプラセボのいずれかに割付けられ、24 週間投与を受けます。Part 2 では、Part 1 でプラセボに割付けられた患者は vimseltinib の投与を受けるオプションがあり、すべての患者が非盲検下で vimseltinib の長期投与を受けます。

腱滑膜巨細胞腫 (TGCT) について

腱滑膜巨細胞腫 (TGCT) は、コロニー刺激因子 1 (CSF1) 遺伝子の転座によって、CSF1 の過剰発現と CSF1 受容体陽性炎症細胞の病変への集積により引き起こされる希な疾患です。TGCT は、関節の内側または近位に発生する希な非悪性腫瘍です。TGCT は CSF1 遺伝子の調節異常によって引き起こされ、CSF1 の過剰産生につながります。TGCT は、従来、腱鞘巨細胞腫 (GCT-TS) または色素性絨毛結節性滑膜炎 (PVNS) として知られていたびまん型の TGCT です。

これらの腫瘍は良性ですが、増殖して周囲の組織や構造に損傷を与え、関節の痛み、腫れ、身体機能の低下、可動域の制限などを引き起こすことがあります。手術が主な治療選択肢ですが、特にびまん型の TGCT ではこれらの腫瘍が再発する傾向があります。治療を行わなかった場合、または腫瘍が継続的に再発すると、影響を受けた関節および周囲の組織に損傷と変性が生じ、重大な障害を引き起こすことがあります。手術不適応の患者さんに対して全身治療の選択肢は限られており、TGCT に対する新たな治療選択肢が必要とされています。

Vimseltinib について

Vimseltinib は、コロニー刺激因子 1 受容体 (CSF1R) を選択的にかつ強力に阻害するよう特別に設計されたスイッチコントロールキナーゼ阻害剤です。Vimseltinib は Deciphera 社独自のスイッチコントロールキナーゼ阻害剤プラットフォームを使用して創製されています。

Deciphera Pharmaceuticals Inc.について

(2024年6月11日に、Deciphera社は小野薬品工業株式会社の完全子会社となりました。)
Deciphera社は、がん患者さんの生活を改善するための重要な新薬の開発、商業化に注力しています。Deciphera社独自のスイッチコントロールキナーゼ阻害剤プラットフォームとキナーゼ生物学の深い専門知識を活用して、革新的な医薬品の幅広いポートフォリオを開発しています。Deciphera社は臨床試験段階のプラットフォームから複数の製品候補の開発を進めており、その中でスイッチコントロール阻害薬であるQINLOCK®は消化管間質腫瘍 (GIST) の四次治療薬として、欧州連合および米国を初め複数の国々で承認されています。詳細については、<https://www.deciphera.com/>をご覧ください。LinkedInおよびX (@Deciphera) でフォローしてください。

以上

<本件に関する問い合わせ先>

小野薬品工業株式会社

広報部

TEL : 06-6263-5670