

2018年4月12日

各位

**Karyopharm の Selinexor が米国食品医薬品局 (FDA) より
5 剤抵抗性の難治性多発性骨髄腫の患者の治療薬として優先審査品目に指定される**

(マサチューセッツ州ニュートン、2018年4月10日) – Karyopharm Therapeutics Inc. (Nasdaq : KPTI、以下、カリオフาร์ม社) は、米国食品医薬品局 (FDA) が、カリオフาร์ม社のリード化合物で、経口の選択的核外輸送タンパク質阻害剤 (SINE) である Selinexor について、3 回以上の治療歴を有する多発性骨髄腫の患者の治療薬として優先審査品目に指定したことを発表しました。FDA のステートメントは、カリオフาร์ม社の Phase II b STORM 試験のデザインと合致しており、3 回以上の治療に関しては、アルキル化剤、グルココルチコイド、Velcade® (ボルテゾミブ)、Kyprolis® (カルフィルゾミブ)、Revlimid® (レナリドミド)、Pomalyst® (ポマリドミド) および Darzalex® (ダラツムマブ) のレジメンが含まれています。また、患者の疾患は、直近の治療も含め、少なくとも 1 種類のプロテアソーム阻害剤 (Velcade® または Kyprolis®)、1 つの免疫調節剤 (Revlimid® または Pomalyst®)、グルココルチコイドおよび Darzalex® の治療に対して不応である必要があります。カリオフาร์ม社は、2018 年 4 月末に STORM 試験のトップラインのデータを報告する予定です。

当社は、2017 年 10 月に、カリオフาร์ม社が開発中のファーストインクラスの経口 XPO1 (エクスポートイン 1) 阻害剤「Selinexor」および第二世代の経口 XPO1 阻害剤「KPT-8602」について、すべての癌腫を対象に、日本、韓国、台湾、香港および ASEAN 諸国で独占的に開発および商業化するライセンス契約を締結しています。

次頁以降に、カリオフาร์ม社が発表したプレスリリースの和文抄訳を添付します。カリオフาร์ม社が発表したプレスリリースは、[こちら](#) をご参照ください。

以上

<本件に関する問い合わせ>
小野薬品工業株式会社 広報部
TEL : 06-6263-5670
FAX : 06-6263-2950

本資料は、カリオフาร์ม セラピューティクス社が 2018 年 4 月 10 日に発表しましたプレスリリースの和文抄訳であり、内容につきましては英語原文が優先されます。

Karyopharm の Selinexor が米国食品医薬品局 (FDA) より 5 剤抵抗性の難治性多発性骨髄腫の患者の治療薬として優先審査品目に指定される

(マサチューセッツ州ニュートン、2018 年 4 月 10 日) – Karyopharm Therapeutics Inc. (Nasdaq : KPTI、以下、カリオフาร์ม社) は、本日、米国食品医薬品局 (FDA) が、カリオフาร์ม社のリード化合物で、経口の選択的核外輸送タンパク質阻害剤 (SINE) である Selinexor について、3 回以上の治療歴を有する多発性骨髄腫の患者の治療薬として優先審査品目に指定したことを発表しました。FDA のステートメントは、カリオフาร์ม社の Phase II b STORM 試験のデザインと合致しており、3 回以上の治療に関しては、アルキル化剤、グルココルチコイド、Velcade® (ボルテゾミブ)、Kyprolis® (カルフィルゾミブ)、Revlimid® (レナリドミド)、Pomalyst® (ポマリドミド) および Darzalex® (ダラツムマブ) のレジメンが含まれています。また、患者の疾患は、直近の治療も含め、少なくとも 1 種類のプロテアソーム阻害剤 (Velcade® または Kyprolis®)、1 つの免疫調節剤 (Revlimid® または Pomalyst®)、グルココルチコイドおよび Darzalex® の治療に対して不応である必要があります。カリオフาร์ม社は、2018 年 4 月末に STORM 試験のトップラインのデータを報告する予定です。

FDA の優先審査プログラムは、重篤な状態の治療および未だ満たされていない医療ニーズに応える可能性のある医薬品の開発を促進するものです。優先審査に指定された医薬品は、医薬品の開発、審査、および承認を迅速に進めることを目的として、FDA へのアクセスをより多く提供します。さらに、優先審査プログラムでは、関連基準が満たされている場合、迅速承認および優先審査が可能となり、また逐次審査も認められます。逐次審査では、製薬会社は新薬申請 (NDA) の全セクションの完了を待たずに、NDA の完成したセクションを順次提出することができ、FDA により審査されます。

カリオフาร์ม社の創設者、社長、Chief Scientific Officer である Sharon Shacham (Ph.D、MBA) は、次のように述べています。「Selinexor が優先審査に指定されたことは、現在、利用可能な治療法にもかかわらず、病勢進行している 5 剤抵抗性骨髄腫患者の治療における未だ満たされていないニーズに対するこの抗癌剤の可能性を FDA が重要であると認識していることを示しています。当社は、現在、ベネフィットが立証されている治療選択肢がない患者さんのため、この新しい経口投与の治療薬の開発を継続し、FDA と緊密に協働して、取り組んでいます。」

Phase II b STORM 試験について

多施設、単群 Phase II b STORM (Selinexor Treatment of Refractory Myeloma) 試験では、複数の前治療をうけた 5 剤抵抗性骨髄腫の患者 122 人が、Selinexor 80 mg (週 2 回、経口投与) と低用量デキサメタゾン 20 mg (週 2 回、経口投与) の併用療法を受けます。難治性疾患の患者は、アルキル化剤、グルココルチコイド、2 種類の免疫調節剤 (Revlid® (レナリドミド) および

Pomalyst® (ポマリドミド))、2 種類のプロテアソーム阻害剤 (Velcade® (ボルテゾミブ) および Kyprolis® (カルフィルゾミブ)) および抗 CD38 モノクローナル抗体 Darzalex® (ダラツムマブ) の治療歴があります。疾患は難治性であり、少なくとも 1 種類のプロテアソーム阻害剤、少なくとも 1 種類の免疫調節剤、Darzalex®、グルココルチコイドおよび直近の抗骨髄腫療法に対して不応な疾患です。試験の主要評価項目は奏効率であり、副次評価項目は、奏効期間および臨床的有益率です。全奏効率は、独立審査委員会 (IRC) によって審査されます。

Selinexor について

Selinexor (KPT-330) は、ファーストインクラスの経口の選択的核外輸送タンパク質阻害剤 (以下、SINE) です。Selinexor は、核外輸送タンパク質である XPO1 (エクスポートイン 1) に結合して阻害することにより機能し、細胞の核内に腫瘍抑制タンパク質が蓄積します。これは、細胞の腫瘍抑制機能を再活性化および増強することで、正常細胞にはほとんど影響を与えず、がん細胞に選択的にアポトーシスを誘導すると考えられます。現在、多発性骨髄腫を対象としたボルテゾミブと低用量デキサメタゾンとの併用療法による第Ⅲ相無作為化試験 (BOSTON 試験)、低用量デキサメタゾンとの併用療法による試験 (STORM 試験)、および多発性骨髄腫の治療薬として承認されている薬剤との併用効果を検証する試験 (STOMP 試験)、びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫を対象とした試験 (SADAL 試験)、脂肪肉腫を対象とした試験 (SEAL 試験) を含む、臨床中期および後期段階の複数の試験が実施されており、これまでに 2,300 人を超える患者が Selinexor の投与を受けています。カリオファーム社は Selinexor の臨床開発に注力しており、上記の試験以外にも、第 I - Ⅲ相試験において、種々のがん腫を対象に、様々な治療法との併用効果の検証を実施及び計画しています。なお、臨床試験に関する他の情報は、www.clinicaltrials.gov をご覧ください。

カリオファーム社について

カリオファーム セラピューティクス社は、がんやその他の重篤な疾患の治療のために核輸送に関連する標的に対するファーストインクラスの画期的新薬の創薬、開発および商業化に注力している製薬企業です。カリオファーム社の SINE 化合物は、核外輸送タンパク質である XPO1 に結合してこの機能を阻害します。SINE 化合物は、様々ながん腫に対して単剤および併用療法で抗腫瘍効果が示されているだけでなく、神経変性疾患、炎症疾患、自己免疫疾患、いくつかのウイルス感染および創傷治癒のモデルにおいても薬効が示されています。カリオファーム社は Sharon Shacham 医師により設立され、現在、複数の臨床および非臨床試験を実施しています。詳細な情報に関しては、www.karyopharm.com をご覧ください。

以上

<本件に関する問い合わせ>
小野薬品工業株式会社 広報部
TEL : 06-6263-5670
FAX : 06-6263-2950