

2018年7月19日

各位

**Karyopharm、5剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の治療薬として
米国食品医薬品局に Selinexor の新薬承認申請の逐次申請を開始**

(マサチューセッツ州ニュートン、2018年7月18日) – Karyopharm Therapeutics Inc. (Nasdaq : KPTI、以下、カリオフาร์ม社) は、新規の経口核外輸送タンパク質阻害剤 (SINE) である Selinexor について、5剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の治療薬として、迅速承認を得るために米国食品医薬品局 (FDA) に新薬承認申請 (NDA) の逐次申請を開始したことを発表しました。5剤抵抗性の骨髄腫患者さんは、2種類のプロテアソーム阻害剤である Velcade® (ボルテゾミブ) と Kyprolis® (カルフィルゾミブ)、2種類の免疫調節剤である Revlimid® (レナリドミド) と Pomalyst® (ポマリドミド)、および抗 CD38 モノクローナル抗体である Darzalex® (ダラツムマブ) での治療歴があり、病状としては1剤以上のプロテアソーム阻害剤、1剤以上の免疫調節剤、Darzalex および直近の治療に抵抗性が認められたものです。カリオフาร์ม社は、2018年下半期中に NDA を完了する予定です。Selinexor は、この適応で FDA からオーファンドラッグ (希少疾病用医薬品) およびファストトラック (優先審査) に指定されています。

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 7 月 18 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、5 剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の治療薬として 米国食品医薬品局に Selinexor の新薬承認申請の逐次申請を開始

- **2018 年下半期中に申請を完了させる予定です。**

(マサチューセッツ州ニュートン、2018 年 7 月 18 日) – Karyopharm Therapeutics Inc. (Nasdaq : KPTI、以下、カリオフาร์ม社) は、本日、新規の経口核外輸送タンパク質阻害剤 (SINE) である Selinexor について、5 剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の治療薬として、迅速承認を得るために米国食品医薬品局 (FDA) に新薬承認申請 (NDA) の逐次申請を開始したことを発表しました。5 剤抵抗性の骨髄腫患者さんは、2 種類のプロテアソーム阻害剤である Velcade® (ボルテゾミブ) と Kyprolis® (カルフィルゾミブ)、2 種類の免疫調節剤である Revlimid® (レナリドミド) と Pomalyst® (ポマリドミド)、および抗 CD38 モノクローナル抗体である Darzalex® (ダラツムマブ) での治療歴があり、病状としては 1 剤以上のプロテアソーム阻害剤、1 剤以上の免疫調節剤、Darzalex および直近の治療に抵抗性が認められたものです。カリオフาร์ม社は、2018 年下半期中に NDA を完了する予定です。Selinexor は、この適応で FDA からオーファンドラッグ (希少疾病用医薬品) およびファストトラック (優先審査) に指定されています。

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 は、5 剤抵抗性の非常に難治性の骨髄腫に対して、承認されている標準的な治療法にもはや反応しない患者さんが抱える大きなアンメットニーズを満たす可能性を秘めていると信じています。経口 Selinexor の NDA の逐次申請を開始したことは、エクスポーティン 1 (XPO1) 阻害剤で、これまでで初めての規制当局への承認申請であり、当社にとっては重要なマイルストーンになります。当社は、この申請を裏付ける第 II b 相 STORM 試験の肯定的な結果を誇りに思い、年内には申請を完了するように迅速に取り組んでいきます。」

カリオフาร์ม社は、FDA からの販売承認を待ちつつ、米国で Selinexor を商業化する計画です。また、2019 年初めに条件付きの販売承認申請 (MAA) を欧州医薬品庁 (EMA) に提出する計画です。

Selinexor について

Selinexor 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です。Selinexor は、核外輸送タンパク質である XPO1 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。これまでに 2,500 人を超える患者が Selinexor の投与を受けています。2018 年 4 月に、カリオフาร์ม社は 5 剤抵抗性の多発性骨髄腫患者を対象に Selinexor と低用量デキサメタゾンとの併用療法を評価した第 II b 相 STORM 試験の肯定的なトップラインデータを報告しました。Selinexor は多発性骨髄腫でオーファンドラッグに、STORM 試験で評価された患者集団でファストトラックに指定されました。カリオフาร์ม社は、5 剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の新たな治療薬として、

経口 **Selinexor** の迅速承認を得るために米国 FDA に NDA の逐次申請を開始し、2018 年下半期中には申請を完了させる予定です。また、2019 年初めに条件付きの販売承認申請を EMA に提出する計画です。**Selinexor** は、さまざまながん腫を対象に他にも複数の中期および後期臨床試験において評価されています。その中には、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ピボタルな第Ⅲ相無作為化試験（**BOSTON** 試験）、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討する試験（**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）および医師主導による子宮内膜がんを対象とした試験（**SIENDO** 試験）があります。その他にも、さまざまながん腫を対象に承認された治療法との併用療法での複数の試験を含め、第 I - Ⅲ相試験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。

多発性骨髄腫における **Selinexor の迅速承認の可能性に関する詳細情報**

FDA は、奏効率（ORR）のような臨床的効果を予測すると考えられる代用評価項目や中間臨床評価項目に基づいて、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を満たす薬剤に対し、迅速な承認を可能にする迅速承認プログラムを制定しました。迅速承認は、FDA がカリオファーム社へのフィードバックで繰り返し表明した迅速承認の申請時点で、既存の治療に対して有意義な治療上のベネフィットを提供する薬剤に対してのみ利用可能です。特に、多発性骨髄腫のような複数の利用可能かつ潜在的な新しい治療法がある疾患領域では、迅速承認は高い規制閾値をもたらします。FDA は、一般的なガイダンスに沿って、進行中のピボタルな第Ⅲ相 **BOSTON** 試験での完全承認に向けた無作為化試験の選択肢をカリオファーム社に連絡し、迅速承認の場合、患者さんは承認されているすべての治療法を既に受けている必要があることをカリオファーム社に伝えました。FDA のファストトラック指定は、重篤な状態で満たされていない医療ニーズを満たす治療薬に利用可能です。カリオファーム社は、特に **STORM** 試験で対象とされた患者集団に対して FDA からファストトラックの指定を受けています。**STORM** 試験の患者集団は、未だ満たされていない医療ニーズおよび 2018 年 4 月に報告された肯定的なトップラインデータを代表するというこの認識に照らして、**STORM** 試験は迅速承認を FDA に要請することを裏付けるものと思っています。

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（Nasdaq: KPTI）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および開発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