

2019年1月10日

各位

**カリオフาร์ม社、5剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の治療薬として、
Selinexor の販売承認申請を欧州医薬品庁に提出したことを発表**

本資料は、小野薬品がライセンス契約している米国カリオフาร์มセラピューティクス社が2019年1月8日（米国現地時間）に発表した英語版プレスリリースを和文抄訳として提供するものです。和文抄訳の内容につきましては、英語原文が優先されます。英語原文のプレスリリースは、<http://investors.karyopharm.com/press-releases> をご参照ください。

プレスリリース本文、第一段落からの抜粋

（マサチューセッツ州ニュートン、2019年1月8日）－Karyopharm Therapeutics Inc.（Nasdaq：KPTI、以下、カリオフาร์ม社）は、本日、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（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、条件付き承認を得るために、販売承認申請（MAA）を欧州医薬品庁（EMA）に提出したことを発表しました。今回の対象患者は、3回以上の治療歴があり、病状としては、1剤以上のプロテアソーム阻害剤、1剤の免疫調節剤、1剤の抗CD-38モノクローナル抗体、および直近の治療に抵抗性が認められた5剤抵抗性の多発性骨髄腫患者です。また、カリオフาร์ม社は、今回のMAAがEMAの医薬品委員会（CHMP）による迅速審査の対象に認められたことも発表しました。

カリオフาร์ม社と小野薬品工業の提携について

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「Eltanexor/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。

Selinexor（ONO-7705）については、日本で多発性骨髄腫および非ホジキンリンパ腫を対象に第I相臨床試験を実施中です。

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、小野薬品がライセンス契約している米国カリオフาร์มセラピューティクス社が2019年1月8日（米国現地時間）に発表しました英語版プレスリリースの和文抄訳です。内容につきましては、英語原文が優先されます。英語原文のプレスリリースは、<https://investors.karyopharm.com/press-releases>をご参照ください。

カリオフาร์ม社、5剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の治療薬として、 **Selinexor** の販売承認申請を欧州医薬品庁に提出したことを発表

- **Selinexor** の販売承認申請は、迅速承認のもとに審査されます。

（マサチューセッツ州ニュートン、2019年1月8日）－Karyopharm Therapeutics Inc.（Nasdaq：KPTI、以下、カリオフาร์ม社）は、本日、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（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、条件付き承認を得るために、販売承認申請（MAA）を欧州医薬品庁（EMA）に提出したことを発表しました。今回の対象患者は、3回以上の治療歴があり、病状としては、1剤以上のプロテアソーム阻害剤、1剤の免疫調節剤、1剤の抗CD-38モノクローナル抗体、および直近の治療に抵抗性が認められた5剤抵抗性の多発性骨髄腫患者です。また、カリオフาร์ม社は、今回のMAAがEMAの医薬品委員会（CHMP）による迅速審査の対象に認められたことも発表しました。

カリオフาร์ม社の創設者であり、社長兼 Chief Scientific Officer である Sharon Shacham（Ph.D、MBA）は、次のように述べています。「**Selinexor** の販売承認申請は、当社にとって重要なマイルストーンであり、さらにCHMPにより迅速審査の対象に認められたことは、重度の難治性多発性骨髄腫の患者さんの予後を改善するために緊急の必要性があること示しています。ピボタルな第IIb相STORM試験の結果により、**Selinexor** と低用量デキサメタゾンとの併用療法が、この治療困難な患者さんにとって有効な新たな治療選択肢になる可能性を秘めていることを裏付けるエビデンスとなります。MAAの提出およびEMAによる迅速審査の指定により、全欧州の患者さんに一刻も早く経口**Selinexor**をお届けできることを期待しています。」

迅速審査は、CHMPがパブリックヘルスに大きな関心があり、画期的な治療法とみなす薬剤に対して認められるものです。迅速審査は、EMAにより認証されれば、MAA審査期間が標準的な210日から150日に短縮されます。**Selinexor** は、EMAから多発性骨髄腫の適応でオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）に指定されています。

5剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の治療薬として、経口**Selinexor** と低用量デキサメタゾンとの併用療法の迅速承認を要請する新薬承認申請（NDA）は米国食品医薬品局（FDA）により優先審査を受けており、PDUFA（処方薬ユーザーフィー法）に基づく審査完了期日は2019年4月6日に設定されています。

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。2018年に、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IIb相STORM試験の肯定的な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社の経口 **Selinexor** の新薬承認申請 (NDA) は、FDA により優先審査の対象として受理され、現在、5 剤抵抗性の多発性骨髄腫患者の新たな治療薬としての可能性が FDA により審査されています。**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) および子宮内膜がんを対象とした医師主導による試験 (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。

カリオフาร์ม社について

カリオフาร์ม 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าร์ม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าร์ม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