2013年12月10日

各位

会 社 名　シンバイオ製薬株式会社
代表者名　代表取締役社長兼 CEO　吉田 文紀
（コード番号：4582）
問合せ先　取締役 副社長執行役員 CFO 兼管理本部長　下村 卓
（TEL. 03-5472-1125）

# 米国オンコノバ社が抗がん剤「rigosertib（リゴサチブ、経口剤）」の第Ⅱ相臨床試験結果（米国）を2013年度米国血液学会年次総会で発表

～輸血依存性の低リスクMDS患者に対し一定以上の輸血依存状態解消をもたらす可能性を示唆～

シンバイオ製薬株式会社（本社：東京都、以下「シンバイオ」）は、米国ニューオリンズで開催中の2013年度米国血液学会（American Society of Hematology：ASH）年次総会において、シンバイオが2011年７月に導入した抗がん剤 rigosertib（シンバイオは日本、韓国の権利を保有）の導入元であるOnconova Therapeutics, Inc.（本社：米国ペンシルベニア州、以下「オンコノバ社」）が、血液がんの一種である骨髄異形成症候群（MDS）（注１）の患者さんを対象として米国で実施した第Ⅱ相臨床試験（経口剤）の結果を発表しましたのでお知らせします。

本試験は輸血依存性の低リスクMDS患者を対象に、rigosertib経口剤の有効性、安全性などを検討する目的で実施されております。これまで60例に投与され、投与方法の内訳としては、継続投与（1日2回、途中休薬なし）が9例、間欠投与（1日2回、14日間投与7日間休薬を繰り返す）が51例でした。主な有害事象として膀胱関連の毒性（排尿障害, 頻尿, 血尿）が観察された一方、いずれも重度の骨髄抑制は認められませんでした。特に、より忍容性の高い間欠投与を8週間以上された患者36例のうち、14例（39%）の患者において輸血依存状態が解消される結果が観察されました。また尿路系の有害事象を軽減する目的で、投与量を変えた投与法も検討され、本投与法による有害事象の改善が示唆されています。
加えて、本薬を投与された32例の遺伝子検査から、特定の遺伝子マーカーが輸血依存状態の解消と関連づけられる可能性が示唆されており、事前診断手段の可能性を更に探るべく、現在追加で20症例の組み入れが行われています。

また同学会では、米国での注射剤による第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験の結果も報告されており、本試験では、再発・難治性22例の患者（急性骨髄性白血病 13例, MDS 8例, 慢性骨髄単球性白血病 1例）にrigosertibが投与され、評価対象となった19例のうち10例（53%）で骨髄中の芽球数減少や末梢血球数の改善が見られました。更に、これらの患者の全生存期間の中央値は9.6ヶ月（不応例: 1.7ヶ月）に及び、rigosertibの治療による芽球反応と全生存期間の相関性が示唆されました。また、有害事象についても、19例のうち9例で尿路系の毒性が観察されたものの、総じて忍容性は良好でした。

（詳細はオンコノバ社のリリース http://investor.onconova.com/releases.cfm をご参照ください）。

rigosertibは、ユニークなマルチキナーゼ阻害作用を有する抗がん剤で、現在オンコノバ社が米国及び欧州においてMDS及び固形がんを適応症として開発しています。中でも再発・難治性MDSを適用症とする臨床試験（注射剤）が最も進んでおり、オンコノバ社は現在欧米で第Ⅲ相臨床試験を実施中で、既に患者登録が完了しております。

シンバイオは、現在、再発・難治性MDSを適応対象とする注射剤（当社開発コード：SyB L-1101）での第Ⅰ相臨床試験及び経口剤（当社開発コード：SyB C-1101）での第Ⅰ相臨床試験をそれぞれ実施しておりますが、これら２つの試験を推し進め、MDSの患者さんに一日でも早く本剤をお届けできるよう、全社一丸となって取り組んでまいります。

以上

※ 用語解説（注１）、オンコノバ社及び当社の会社概要につきましては添付の参考資料をご参照ください。

SymBio
シンバイオ製薬株式会社

JASDAQ

**参考資料**

（注１）骨髄異形成症候群（MDS：Myelodysplastic syndoromes）は、急性骨髄性白血病への移行が高い確率で見られる予後不良の難治性疾患です。血球を作る造血幹細胞に異常が生じ、十分な量の血球を作ることが出来なくなった結果、血球減少を起こす疾患で、異常な造血幹細胞から作られた血球は、形態も異常となることから、異形成と呼ばれます。日本における患者数は11,000 人程度と推定され、年齢別では高齢者に多く認められます。この病気を引き起こす環境因子や遺伝背景は明らかになっていませんが、放射線治療や抗がん剤治療を受けられた方では、この病気を発症する危険が高まることが知られています。現在、日本において骨髄異形成症候群を主たる適応症として承認されている注射剤は、日本新薬のアザシチジン（2011年３月発売）のみであり、新しい薬剤の開発が待ち望まれている領域です。

【オンコノバ社について】
米国ペンシルベニア州及びニュージャージー州に拠点を置く、バイオ医薬品に特化した製薬企業です。1998年の同社設立時より、がん治療ならびに正常細胞の保護に注力し、自社の所有する125以上の新規化学療法薬候補からなる医薬品化学ライブラリーを基に、新規の分子・生物学的治療を目的とした低分子治療薬を発見、最適化してきました。シンバイオが今回導入したON 01910.Na（一般名: rigosertib)の全世界における開発・販売権を保有しております。
同社の詳細についてはウェブサイト（http://www.onconova.com/）をご覧下さい。

【当社会社概要】
シンバイオ製薬株式会社は、米国アムジェン社元副社長で、アムジェン株式会社（現 武田バイオ開発センター株式会社）の実質的な創業者である吉田文紀が2005年3月に設立した医薬品企業です。経営理念は「共創・共生」（共に創り、共に生きる）で表され、患者さんを中心として医師、科学者、行政、資本提供者を「共創・共生」の経営理念で結び、満たされない医療ニーズに応えてゆくことにより、社会的責任および経営責任を果たすことを事業目的としております。