2014年2月20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 下村 卓
（TEL. 03-5472-1125）

米国オンコノバ社が実施中の抗がん剤「rigosertib（リゴサチブ、注射剤）」の第Ⅲ相臨床試験結果（米国）について

シンバイオ製薬株式会社（本社：東京都、以下「シンバイオ」）は、シンバイオが2011年７月に導入した抗がん剤 rigosertib（以下「リゴサチブ」、シンバイオは日本および韓国の権利を保有）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、造血器腫瘍のひとつである再発・難治性の高リスク骨髄異形成症候群（MDS）（注1）の患者を対象として、米国で実施した第Ⅲ相臨床試験（ONTIME試験、注射剤）の結果を発表しましたので、その要旨をお知らせします。

ONTIME試験は再発・難治性の高リスクMDS患者を対象として、リゴサチブ投与群と対照（ベスト・サポーティブケア:BSC）群とで有効性・安全性を比較する目的で実施した第Ⅲ相臨床試験です。全登録患者299名のうち、199名はリゴサチブ群、100名は対照(BSC)群でした。

主要評価項目の全生存期間については、リゴサチブ群は8.2ヶ月であったのに対し、対照(BSC)群は5.8ヶ月であり、統計学的に有意な差は認められませんでした（ハザード比=0.86；P=0.27）。

一方で、部分集団解析の結果、前治療中（低メチル化剤）に病勢の進行した患者または不応であった患者（299名中184名）において、リゴサチブ群の全生存期間は8.5ヶ月であったのに対し、対照（BSC）群では4.7ヶ月であり、統計学的に有意な差が認められました（ハザード比=0.67；P=0.022）。

また、グレード３以上の血液毒性は７％以下、非血液毒性 は３％以下であり、リゴサチブの優れた安全性が確認されました。

なお、オンコノバ社の今後の開発方針につきましては、同社とFDA（米国食品医薬品局）及びEMA（欧州医薬品局）との協議に基づき決定される予定です（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）。

リゴサチブは、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す。経口剤では、輸血依存性低リスクMDSの第Ⅱ相臨床試験を実施しており、現在FDAと協議中の第Ⅲ相臨床試験を早急に開始する計画です。また、昨年12月の米国血液学会において、当該第Ⅱ相臨床試験の良好な結果が発表されております。

シンバイオは、現在、再発・難治性高リスクMDSを対象に注射剤（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います。

注射剤につきましては、オンコノバ社による再発・難治性高リスクMDSを対象とした今回の第Ⅲ相臨床試験の結果を受け、今後予定されているオンコノバ社とFDA及びEMAとの協議結果、

及び当該結果を受けたオンコノバ社の開発方針を踏まえ、国内での開発方針について検討してまいります。国内で現在実施中の第Ⅰ相臨床試験は継続する予定です。

経口剤につきましては、引き続き輸血依存性低リスクMDS及び初回治療高リスクMDSの適応での開発を行ってまいります。

これらの試験を積極的に推し進め、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。