

2020年3月27日

<各位>

ナノキャリア株式会社  
代表取締役社長 松山 哲人  
(4571 東証マザーズ)  
問合せ先 IR担当 土屋 千映子  
電話番号 03-3241-0553

遺伝子治療薬 VB-111 のプラチナ製剤抵抗性卵巣がんを対象とした国内開発決定のお知らせ  
国際共同第Ⅲ相臨床試験 (OVAL 試験) の中間解析発表

当社が国内開発権および販売権を導入した遺伝子治療薬 VB-111 について、米国を中心に実施中の OVAL 試験に関し、第 3 者委員会による中間解析が行われ、良好な結果が認められ、試験の継続が推奨されたことが、導入元である VBL Therapeutics (イスラエル、以下「VBL 社」) より発表されました。当社は、本結果を踏まえ、国内開発を実施する方針を決定しましたのでお知らせいたします。

当社は、遺伝子治療薬 VB-111 の国内取扱いに関し、カルタヘナ法に基づく第一種使用規程の承認を取得済みであり、国内臨床試験開始に向けた規制当局との相談も進めており、日本国内の投与開始に向け準備を加速します。

国内の卵巣がん罹患数は年間 10,000 人を超え、死亡者数は年間約 5,000 人に達しています。卵巣がんは、プラチナ製剤への感受性が比較的高いといわれており、1 次治療としてプラチナ系抗がん剤治療が行われます。治療中 6 か月以内に増悪が認められた、または、再発した場合にはプラチナ製剤抵抗性卵巣がんと判断されます。本疾患は、アンメットニーズの大きい疾患であり、新たな治療法の開発が求められています。

VB-111 は、腫瘍血管内皮細胞のアポトーシスを誘導し、さらに腫瘍免疫を惹起する 2 つのメカニズムを有するユニークな治療薬です。遺伝子治療でありながら、静脈注射による全身投与型の製剤であり、固形がんを対象に適応疾患を拡大する可能性を有しています。海外では、VBL 社を中心に再発悪性膠芽腫および大腸がんを対象とした開発も進められております。

当社は、VB-111 のがん領域での治療薬としての可能性を評価しており、引き続き海外での開発動向を見極めながら国内開発を進めてまいります。本製品の国内上市を達成することは、当社の経営基盤強化につながると見込んでおり、当社のコア技術の成長を支える一つとなると期待しております。

なお、本件による 2020 年 3 月期業績への影響はございませんが、2021 年 3 月期業績への影響を精査し、2020 年 5 月に発表予定の通期業績予想に組み入れる予定です。

次項に、VBL 社の発表を翻訳してご案内いたしますが、原文の英語が優先されますことをご承知おきください。

<http://ir.vblrx.com/news-releases/news-release-details/vbl-therapeutics-announces-positive-outcome-interim-analysis>

VBL 社が卵巣がんを対象とした第Ⅲ相ピボタル試験（OVAL 試験）の中間解析で  
良好な結果を得ました

- OVAL 試験の独立データモニタリング委員会（DSMC）は、非盲検下でデータをレビューし、VB-111 治療はコントロールと比較し、事前に規定した基準（CA-125 奏効率の差が 10%以上）を達成したと宣言しました。DSMC は、この試験の継続を勧告しました。
- 無作為化された評価対象 60 例の CA-125 の奏効率は 53%でした。均等に無作為化されていると仮定した場合、治療群（VB-111 とパクリタキセル週 1 回投与の併用）における奏効率は 58%以上になります。
- 治療後に発熱が認められた症例における CA-125 奏効率は 69%でした。発熱は VB-111 投与後によく観察される事象です。
- 第Ⅲ相試験の中間解析で認められた CA-125 奏効率は、プラチナ製剤抵抗性卵巣がんを対象として実施した第Ⅱ相試験における CA-125 奏効率と少なくとも同等以上です。

VBL 社は、プラチナ製剤抵抗性卵巣がんを対象とした OVAL 試験における中間解析の有望な結果を発表しました。OVAL 試験の DSMC は、非盲検下でデータをレビューし、最初の評価可能 60 例について GCIIG 基準に従って CA-125 奏効率を評価しました。DSMC は、VB-111 治療群が、事前に規定した基準（CA-125 奏効率の差が 10%以上）を達成したと宣言し、本試験の継続を勧告しました。

無作為化された評価対象 60 例の CA-125 の奏効率は 53%でした。均等に無作為化されていると仮定した場合、治療群（VB-111 とパクリタキセル週 1 回投与の併用）における奏効率は 58%以上になります。発熱は VB-111 のマーカーと考えられ、治療後に発熱が認められた症例における CA-125 奏効率は 69%でした。

「この無作為化比較試験における中間解析の有望な結果は、第Ⅱ相試験で認められたデータと併せて、未だ有効治療のないプラチナ製剤抵抗性卵巣がんに対する VB-111 の可能性を示唆するものである。」と、OVAL 試験のステアリングコミティの委員長である Bradley J. Monk 医学博士（ACS, FACOG, Co-Director of GOG Partners, Arizona Oncology (US Oncology Network) and Professor, Gynecologic Oncology at University of Arizona, Creighton University, Medical Director of US Oncology Research Gynecology program in Phoenix, Arizona.) は述べています。

「この中間解析の結果は、無作為化比較試験において VB-111 が標準治療に比べ、ベネフィットを示す可能性があることを示したと解釈され、非常に喜んでいる。今回の中間解析の結果は、同様の患者群を対象とした VB-111 の第Ⅱ相試験における CA-125 奏効率と少なくとも同等でした。今回の中間解析結果は、これまで得られた各種第Ⅱ相試験の成績を裏付けるものと解釈される。」と、VBL 社の CEO である Dr. Dror Harats は述べています。

以前に報告したとおり、プラチナ製剤抵抗性卵巣がんを対象とする VB-111 の第Ⅱ相試験では、VB-111 とパクリタキセル併用における CA-125 奏効率は 58%でした。CA-125 奏効例の全生存期間中央値は 808 日、CA-125 非奏効例では 351 日でした。

DSMC による OVAL 試験継続の勧告は、本試験が主要評価項目を達成することを保証するものではありません。OVAL 第Ⅲ相試験の主要評価項目は全生存期間であり、現在、プラチナ製剤抵抗性卵巣がんに対する承認されている治療法はありません。

以上